



8. September 2016

Liebe SMA-Gemeinschaft,

Die Firma Roche möchte sie zusammen mit den Kooperationspartnern PTC Therapeutics und der SMA Foundation über die neuesten Entwicklungen bezüglich ihres SMN2 Splicing-Modifier-Programms unterrichten. Bei diesem Programm handelt es sich nicht um das ebenfalls von Roche durchgeführte Olesoxime-Programm.

Im April 2015 wurde die klinische Studie Moonfish mit der Prüfsubstanz RG7800 bei SMA-Patienten gestoppt. Das war eine Vorsichtsmaßnahme nach einem unerwarteten Befund am Auge in Tierstudien. Die Konzentrationen von RG7800, die den Tieren verabreicht wurden, waren höher als bei irgendeinem der Studienpatienten. Wir können versichern, dass bei keinem der Patienten, die RG7800 während der Moonfish-Studie erhalten haben, irgendein Hinweis aufgetreten ist, der auf ein Sicherheitsproblem von RG7800 schließen ließe. Zurzeit ist die weitere Entwicklung von RG7800 gestoppt.

Im Januar 2016 haben wir eine klinische Studie bei gesunden Freiwilligen mit RG7916 begonnen, einer weiteren Prüfsubstanz für SMA. Wir freuen uns, mitteilen zu können, dass wir, basierend auf den hier gewonnenen Informationen, RG7916 weiterentwickeln werden. Wir planen, klinische Studien mit RG7916 in Patienten mit SMA Typ I und Typ II und Typ III Ende des Jahres 2016 anzufangen. Wir warten zurzeit auf Rückmeldungen der Gesundheitsbehörden zu unseren Studienplänen. Entsprechend diesen Rückmeldungen werden wir die Länder, Zentren und Zeitpläne für die Studien festlegen und wir werden darüber zu gegebener Zeit berichten.

Patienten, die an der Moonfish-Studie teilgenommen haben, werden die Gelegenheit bekommen, an einer offenen Studie (d.h. ohne Placeboarm) teilzunehmen, falls sie die Studienkriterien erfüllen und eine Teilnahme wünschen. Diese Patienten werden von ihrem Studienzentrum kontaktiert und über diese Möglichkeit unterrichtet werden.

Wenn sie mehr über diese Studien lesen möchten und über deren Fortschritt unterrichtet bleiben möchten, können sie folgende Webseiten besuchen: www.clinicaltrialsregister.eu oder www.clinicaltrials.gov. Unsere Studien mit RG7916 werden sehr bald auf diesen Webseiten bekanntgegeben werden.

Wir fühlen uns nach wie vor stark verpflichtet, den Patienten mit SMA zu helfen und die Entwicklung neuer Medikamente für SMA voranzutreiben. Wir werden zu gegebener Zeit über RG7916 und unser SMA Programm berichten.

Ihre Teilnahme an klinischen Studien ist von größter Bedeutung, um das wissenschaftliche Verständnis vom SMA weiterzuentwickeln. Zusammen mit unseren Partnern, PTC Therapeutics und der SMA Foundation, möchten wir uns bei denjenigen, die an unseren klinischen Studien teilnehmen, bedanken.

Wenn sie irgendwelche Fragen oder weiteren Diskussionsbedarf haben, kontaktieren sie bitte sangeeta.jethwa@roche.com.

Mit freundlichen Grüßen

Dr. Sangeeta Jethwa

Leiterin Patientenzusammenarbeit, Seltene Erkrankungen
Roche Pharma Forschung und frühe Entwicklung
Roche Innovation Centre Basel, Schweiz

Übersetzung aus dem Englischen: Dr. Inge Schwersenz