

27. September 2016



Liebe SMA-Gemeinschaft,

Roche möchte sie, zusammen mit den Partnern PTC Therapeutics und der SMA Foundation, über die aktuellen Fortschritte bei der klinischen Entwicklung unserer Prüfsubstanz RG7916 (RO7034067) für spinale Muskelatrophie (SMA) unterrichten.

Wir freuen uns, ihnen mitteilen zu können, dass zwei Studien, SUNFISH und FIREFISH, welche die Sicherheit und Wirksamkeit unseres SMN2 Splicing-Modifiers untersuchen werden, im Oktober beziehungsweise November 2016 starten werden.

In der SUNFISH-Studie (BP39055) wird RG7916 bei Kindern und jungen Erwachsenen (2 – 25 Jahre) mit SMA Typ II und III untersucht. Diese Studie wird einen Placebo-Arm haben. In der FIREFISH-Studie (BP39056) wird RG7916 bei Säuglingen (1 – 7 Monate alt) mit SMA Typ I untersucht. Alle Säuglinge werden RG7916 erhalten, in dieser Studie ist kein Placebo-Arm vorgesehen.

Beide Studien werden in zwei Teilen ablaufen: im Teil 1 wird die Dosis von RG7916 bestimmt und dieser Teil wird nur in einigen wenigen Studienzentren stattfinden, im Teil 2 wird die Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 untersucht und dieser Teil wird in zusätzlichen Studienzentren und Ländern stattfinden.

Falls sie mehr über die Studien erfahren wollen, können sie sich auf der Webseite [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) informieren. Die Zentren, die auf [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) aufgelistet sind, werden an Teil 1 oder Teil 2 oder an beiden Teilen der Studien teilnehmen. Das hängt von der Zustimmung der Gesundheitsbehörden und der jeweiligen Ethik-Komitees ab. Die Informationen auf der Webseite werden aktualisiert, um die Zentren anzuzeigen, die für den Teil 1 Patienten rekrutieren. Weitere Länder und Zentren werden an Teil 2 teilnehmen, wenn die Studien weiter voranschreiten und auch diese Informationen werden auf [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) aktualisiert werden.

Diejenigen Patienten, die an der MOONFISH-Studie mit RG7800 teilgenommen haben, könnten bald an einer dritten Studie teilnehmen, JEWELFISH, falls sie die Kriterien der Studie erfüllen. Das wird eine offene Studie mit RG7916 sein. In Kürze werden mehr Informationen über die Studie verfügbar sein.

Der dringende Bedarf der Patienten mit SMA für eine Behandlung bleibt uns ein äußerst wichtiges Anliegen. Wir freuen uns auf eine gute Zusammenarbeit mit den Patientenorganisationen, wenn unsere Studien vorangehen.

Falls sie Fragen haben oder weiteren Diskussionsbedarf, kontaktieren sie mich bitte unter [sangeeta.jethwa@roche.com](mailto: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