



22. Dezember 2015

Liebe SMA-Gemeinde,

Roche, PTC Therapeutics und die SMA Foundation, die bei der Entwicklung eines Medikamentes für SMA zusammenarbeiten, möchten sie über den Fortschritt unseres Splicing-Modifier-Programms informieren. Dieses Programm hat nichts mit dem ebenfalls von Roche durchgeführten Olesoxime-Programm zu tun.

Im April 2015 haben wir sie darüber informiert, dass die Moonfish-Studie, in der der Splicing-Modifier RG7800 in Patienten mit SMA untersucht wurde, gestoppt wurde. Dabei handelte es sich um eine Vorsichtsmaßnahme. In einer Tierstudie, in der die Langzeitbehandlung mit RG7800 untersucht wurde, trat ein bei Dosierungen, die über denen, die bei Patienten gegeben wurden, ein unerwarteter Befund auf. Die Moonfish-Studie bleibt gestoppt während wir weitere Untersuchungen durchführen, um diesen Befund zu verstehen.

Wir freuen uns, ihnen mitteilen zu können, dass wir mit der Entwicklung eines zweiten Splicing-Modifiers vorangekommen sind. Diese neue Prüfpräparat, RG7916, wird jetzt ab Januar 2016 zum ersten Mal in einer klinischen Studie an gesunden Freiwilligen untersucht. In dieser Studie werden wichtige Informationen über das Sicherheitsprofil, die Pharmakokinetik (wie sich das Präparat im Körper verhält) und die Wirkung des Präparats bei gesunden Freiwilligen gewonnen. RG7916 hat andere Eigenschaften als RG7800, die möglicherweise einen Einfluss darauf haben, wie sich das Präparat im Körper verhält. Das wird in dieser Studie untersucht werden.

Uns haben Fragen erreicht, warum das Medikament Itraconazol bei dieser Studie verwendet wird. Bei Itraconazol handelt es sich um ein zugelassenes Medikament das in diesem Fall als Hilfsmittel verwendet wird, um den Metabolismus (das heißt den Abbau) von RG7916 im menschlichen Körper zu verstehen. Dabei handelt es sich um eine übliche Vorgehensweise bei diesem Typ von Studie.

Wenn sie mehr über diese klinische Studie lesen möchten, rufen sie:

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/about.html> oder

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02633709?term=SMA+RG7916&rank=1> auf.

Die Informationen aus dieser Studie werden uns helfen, die beiden Splicing-Modifier RG7800 und RG7916 zu vergleichen und zu entscheiden, wie das Programm weitergehen soll. Wir freuen uns, sie darüber in der ersten Hälfte des Jahres 2016 zu informieren.

Unser Engagement, der SMA-Gemeinde zu helfen und die Entwicklung neuer Medikamente für die Behandlung von SMA voranzutreiben, ist ungebrochen.

Zusammen mit unseren Partnern, PTC Therapeutics und der SMA Foundation, möchten wir ihnen dafür danken, dass sie ihre Erfahrungen aus einem Leben mit SMA mit uns teilen; das ist für uns sehr inspirierend.

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

Mit freundlichen Grüßen

Sangeeta Jethwa, MD
Patient Partnership Director, Rare Diseases
Roche Pharma Research&Early Development
Roche Innovation Center Basel, Switzerland

Übersetzung: Dr. Inge Schwersenz