



Basel, Donnerstag 14. April 2016

Sehr geehrtes Mitglied von SMA Europe,

Wir möchten Ihnen hiermit die gewünschte Antwort auf ihre Fragen zu Olesoxime geben. Während der letzten Monate waren wir in Kontakt mit der Food and Drug Administration (FDA) in den USA und mit der European Medicines Agency (EMA). Die FDA und die EMA sind die Behörden, die für die Zulassung von Medikamenten in den USA beziehungsweise in Europa zuständig sind. Beide Behörden beraten auch die Pharmafirmen, wenn es darum geht, aus einem Studienpräparat eine zugelassene Therapie zu machen. Die wissenschaftsbasierten Auskünfte, die wir von beiden Behörden bezüglich der gegenwärtigen verfügbaren klinischen Daten von Olesoxime bekommen haben, sind ähnlich und endgültig:

- Die gegenwärtig verfügbaren klinischen Nachweise der Wirksamkeit von Olesoxime sind nicht ausreichend, um das Wirksamkeits- / Risikoprofil für eine Behandlung von SMA schlüssig zu beweisen.
- Sowohl die Zulassungsbehörde in den USA als auch die in der EU haben zusätzliche Wirksamkeitsnachweise verlangt, was die Durchführung einer zusätzlichen Studie bedeutet.

Als Ergebnis dieser Beratung wird Roche eine Phase 3 Studie mit Patienten mit SMA Typ II und Typ III durchführen. Diese zusätzliche Studie ist der einzig mögliche Weg, um die Daten für die klinische Wirksamkeit zu erbringen, die von den Zulassungsbehörden gefordert wurden, um das Wirksamkeits- / Risikoprofil von Olesoxime festzustellen und damit die Zulassung zu erreichen. Die unausweichliche Konsequenz dieser Forderung ist eine Verzögerung, die dadurch entsteht, dass die Durchführung einer zusätzlichen Studie Zeit erfordert. Der Zulassungsantrag für Olesoxime wird deshalb voraussichtlich 2020 gestellt werden können.

Uns ist sehr bewusst, dass der fortschreitende Verlauf der Erkrankung bei SMA eine sehr große emotionale Belastung bedeutet und dass ein dringender Bedarf für Behandlungsmöglichkeiten besteht. Wir sind genauso wie sie, die Patienten und Familien mit SMA, über diese Entwicklung extrem enttäuscht. Wir denken an alle Menschen mit SMA, die wir im letzten Jahr treffen konnten, an alle Eltern, Geschwister und die erweiterte Familie und die Aktiven in den Patientenorganisationen. Wir möchten Ihnen allen mitteilen, dass wir unverändert an unseren Zielen festhalten und dass wir alles dafür tun werden, eine Therapiemöglichkeit so bald wie möglich für Menschen mit SMA und ihre Familien zur Verfügung zu stellen.

Deshalb ist es unser Ziel, eine Phase 3-Studie so bald wie möglich zu starten. Wir arbeiten bereits am Studienprotokoll und an allen Aspekten der Durchführung. Wir werden eine Reihe von SMA Patientenorganisationen in die Diskussion einbeziehen. Wir haben Vertrauen in das Potential von Olesoxime für Menschen mit SMA und werden die klinische Entwicklung in der OLEOS Phase 3-Studie vorantreiben. Zum gegenwärtigen Zeitpunkt ist es uns nicht möglich, einer Nachfrage nach compassionate use oder einer Anwendung von Olesoxime vor der Zulassung zuzustimmen. Für weitere Informationen über die Bedingungen für einen Zugang zu Medikamenten vor der Zulassung bitten wir, die Position von Roche zum Zugang von Studienmedikamenten vor der Zulassung in folgendem Link nachzulesen. \*

Uns ist bewusst, dass die SMA-Gemeinde einen Bedarf nach Information über unsere Entwicklungen hat und fühlen uns verpflichtet, regelmäßig Berichte über die Entwicklungen bekanntzugeben.

Mit freundlichen Grüßen

Roche

\* [www.roche.com/position\\_on\\_pre\\_approval\\_access\\_on\\_investigational\\_medicinal\\_products.pdf](http://www.roche.com/position_on_pre_approval_access_on_investigational_medicinal_products.pdf)

Übersetzung: Dr. Inge Schwersenz