

Liebe Mitglieder der SMA-Gemeinschaft,

viele von Ihnen haben bereits aus den Medien erfahren, dass eine Zwischenauswertung der klinischen Studie ENDEAR zur Behandlung von Säuglingen mit spinaler Muskelatrophie (SMA Typ I) mit Nusinersen positive Ergebnisse geliefert hat.

Wir hätten dieses Ziel niemals erreicht ohne die Unterstützung der Patienten und Familien, die an unseren klinischen Studien teilnehmen; ohne die Prüfarzte, die die Patienten und Familien mit besonderer Fürsorge betreuen und ohne die Unterstützung der gesamten SMA-Gemeinschaft. Sie alle motivieren uns dazu, jeden Tag von Neuem unser Bestes zu geben. Dafür möchten wir Ihnen allen an dieser Stelle danken!

Wie geht es nun weiter?

- Wegen der Schwere der Erkrankung und des dringenden Therapiebedarfs bei SMA hatten wir bei der Konzeption des ENDEAR-Studienprotokolls eine Option für eine Zwischenauswertung vor dem formalen Abschluss der Studie vorgesehen und diese ist nun erfolgt.
- Aufgrund der positiven Ergebnisse der Zwischenauswertung bei den Studienteilnehmern mit SMA Typ I können sich nun alle Teilnehmer der Studien ENDEAR und EMBRACE dafür entscheiden, Nusinersen zu erhalten, indem sie in die unverblindete Studie SHINE wechseln. Wir planen in den kommenden Monaten in den USA und EU sowie anschließend in weiteren Ländern Zulassungsanträge für Nusinersen einzureichen. Dieser Schritt wird uns hoffentlich unserem endgültigen Ziel näher bringen, das darin besteht, Nusinersen so schnell wie möglich als zugelassene Therapie verfügbar zu machen.
- Angesichts der Dauer von Zulassungsverfahren einerseits und des dringenden Bedarfs der Patienten andererseits arbeitet Biogen momentan parallel daran, frühestens im Herbst 2016 ein so genanntes Expanded Access Program (EAP) zu starten und Nusinersen bereits vor einer potenziellen Zulassung in Frage kommenden SMA-Patienten (SMA Typ I) verfügbar zu machen.

Weiterer Hintergrund und Details

In den kommenden Monaten werden wir die Zulassungsanträge bei den zuständigen Behörden in den USA und der EU sowie anschließend in weiteren Ländern einreichen. Die Zulassungsanträge werden die Zwischenauswertung der Studie ENDEAR und alle weiteren derzeit verfügbaren klinischen und präklinischen Daten enthalten. Wir prüfen mit den Zulassungsbehörden Möglichkeiten für beschleunigte Verfahren, haben aber noch keinen speziellen Zeitplan, für die Überprüfung und die potenzielle Zulassung durch die zuständigen Behörden. Das regulatorische Zulassungsverfahren ist von Land zu Land unterschiedlich. Die übliche Dauer für die Prüfung und Zulassung beträgt in den USA durchschnittlich ungefähr zehn Monate, nachdem der Zulassungsantrag für ein neues Medikament angenommen wurde. In der EU können von der Einreichung der Unterlagen bis zur Zulassung 13 - 15 Monate vergehen. Diese Dauer kann im Einzelfall allerdings auch stark variieren und kann den Zeitpunkt der Verfügbarkeit des Produkts beeinflussen.

Daneben werden wir unsere weiteren Studien im Nusinersen-Programm fortsetzen, darunter CHERISH (SMA Typ II), NURTURE (präsymptomatische Säuglinge) sowie die laufenden unverblindeten Phase-II-Studien (CS3a und CS12), um weitere Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit von Nusinersen zu sammeln.

Wie oben erwähnt, arbeitet Biogen angesichts des dringenden Bedarfs der Patienten und der Laufzeiten von Zulassungsverfahren an einem Expanded Access Program (EAP). Dieses soll Nusinersen für in Frage kommende Patienten mit SMA Typ I bereits vor einer potenziellen Zulassung verfügbar machen.

- In Deutschland besteht die Möglichkeit, dass die bisherigen klinischen Studienzentren für Nusinersen aufgrund ihrer Erfahrung bei der Verabreichung des Medikaments am EAP teilnehmen können.
- Sobald die erforderlichen lokalen regulatorischen Voraussetzungen für das EAP erfüllt sind und das EAP beginnt, können die teilnehmenden Studienzentren mit der Behandlung von SMA Typ I Patienten beginnen. Zuvor müssen sie die Teilnehmer der Studie ENDEAR in die open-label Studie aufgenommen haben.
- Die Aufnahmekriterien sowie zusätzliche Details zum EAP für SMA Typ I Patienten werden in den kommenden Wochen auf clinicaltrials.gov veröffentlicht. Diese Website ist für Sie und Ihren Arzt die beste Anlaufstelle, um die aktuellsten Informationen zum Programm zu erhalten.

Wir sind uns bewusst, dass dieses EAP nicht die Bedürfnisse der gesamten SMA-Gemeinschaft abdecken wird. Wir beabsichtigen für die Zukunft die Durchführung eines EAPs auch für Patienten mit der später beginnenden SMA Typ II. Voraussetzung hierfür wird sein, dass wir genügend positive, gut kontrollierte Daten zur Verfügung haben, um den Zulassungsbehörden die Beurteilung der Sicherheit und Wirksamkeit von Nusinersen auch bei diesen Patienten zu ermöglichen. Sobald dies der Fall sein sollte, werden wir auch die Placebo-kontrollierte Studie CHERISH beenden können. Wir arbeiten daran, CHERISH so schnell wie möglich abzuschließen und prüfen weiterhin alle Möglichkeiten, die Überprüfung und die potenzielle Zulassung zu beschleunigen.

Wir haben den größten Respekt vor den unermüdlichen Anstrengungen und dem großen Beitrag der SMA-Gemeinschaft zur Förderung der Erforschung und Entwicklung von Therapien zur Behandlung der SMA. Es bleibt noch viel zu tun, aber das positive Ergebnis der Zwischenanalyse unserer Studie zu Nusinersen bringt uns alle ein gutes Stück voran. Wir werden die SMA-Gemeinschaft soweit möglich weiterhin über neue Entwicklungen und Programmaktualisierungen informieren und möchten allen Beteiligten nochmals unseren Dank und unsere Anerkennung aussprechen.

Biogen und Ionis Pharmaceuticals