

20. März 2017

Liebe SMA Gemeinde,

wir bei Roche arbeiten mit äußerster Anstrengung, um dem dringenden Bedarf von Patienten mit SMA nach einem Medikament nachzukommen. Wir freuen uns, Ihnen ein Update über die Fortschritte bezüglich unserer zwei in Entwicklung befindlichen Moleküle, Olesoxim und RG7916, beide zum Schlucken, geben zu können. Außerdem möchten wir Sie über die drei klinischen Studien mit RG7916, die gegenwärtig Teilnehmer aufnehmen – SUNFISH (SMA Typ II und III), FIREFISH (SMA Typ I) und JEWELFISH (vorbehandelte SMA Typ II und III) informieren.

Olesoxim

- Olesoxim ist eine oral verabreichte Substanz, die helfen könnte, die Funktion der Mitochondrien aufrechtzuerhalten und die Zellfunktion zu fördern.
- Sowohl die Europäische Arzneimittelbehörde (EMA) als auch die US Food and Drug Administration (FDA) haben uns geraten, zusätzliche Daten zum Nutzen/Risikoverhältnis in einer Phase III-Studie zu erheben.
- Wir prüfen die Rückmeldungen von EMA und der FDA zu eventuellen Plänen für eine Phase III-Studie mit Olesoxim und werden sie in den kommenden Monaten auf dem Laufenden halten.

RG7916

- RG7916 ist eine Substanz, die geschluckt wird und das Spleißen des SMN2-Gens beeinflusst. Sie wirkt auf alle Zellen des Körpers.
- Sie befindet sich in der klinischen Entwicklung. Wir arbeiten mit PTC Therapeutics und der SMA Foundation zusammen.
- RG7916 hat von der FDA den Status eines Medikamentes für seltene Erkrankungen zuerkannt bekommen.

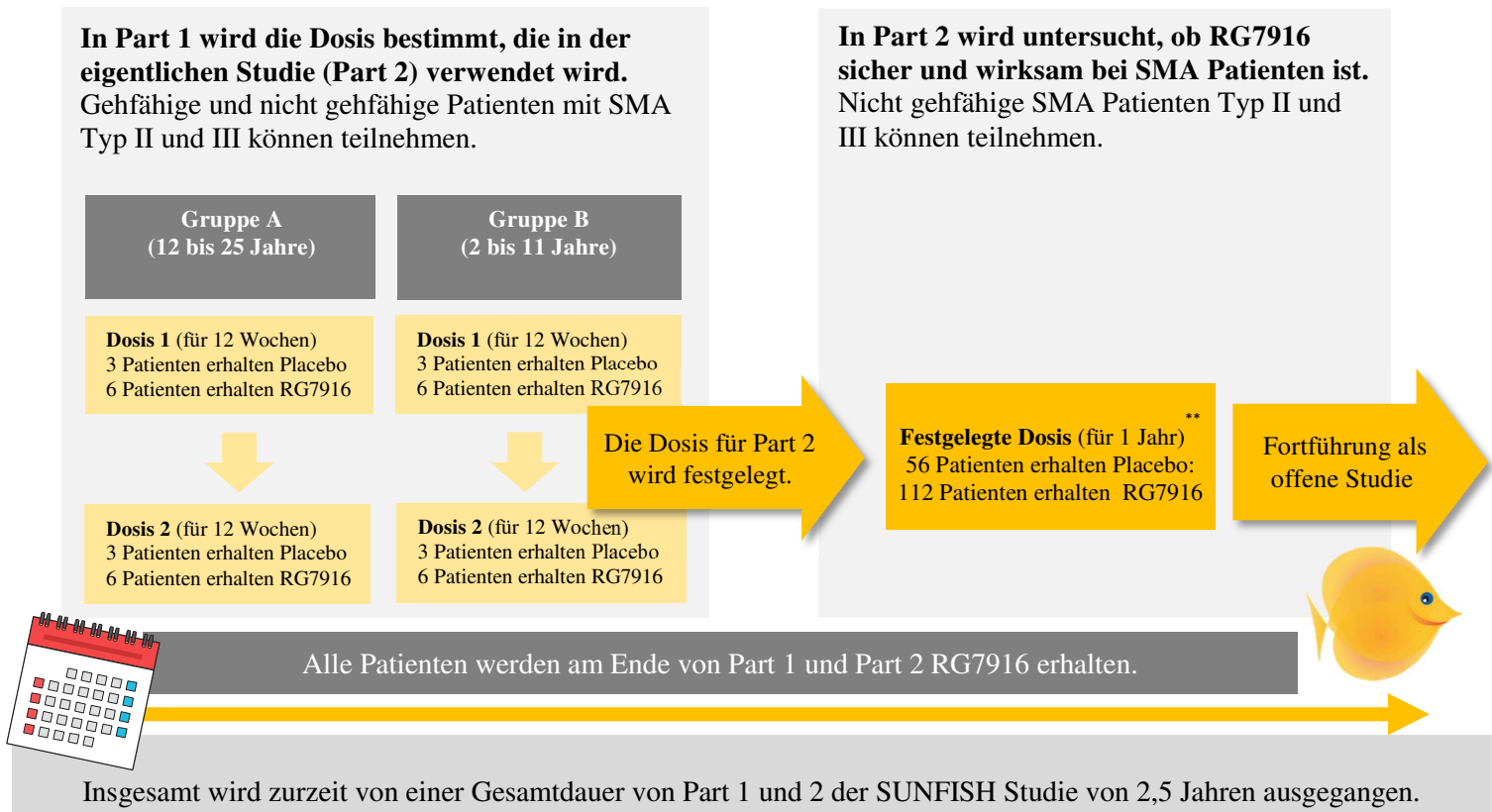
Welche klinischen Studien mit RG7916 nehmen zurzeit Patienten auf?

- Drei klinische Studien mit RG7916 nehmen zurzeit Patienten auf: SUNFISH, FIREFISH und JEWELFISH.
- Interessenten müssen alle verlangten Kriterien erfüllen, bevor sie in eine der Studien mit RG7916 aufgenommen werden können.

SUNFISH

- **Ziel der Studie:** Feststellung der Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 bei Patienten mit SMA Typ II und III
 - In Part 1 der Studie wird festgestellt, wie sicher RG7916 in zwei verschiedenen Dosen ist und ob diese gut vertragen werden.
 - In Part 2 wird die Sicherheit und die Effektivität der in Part 1 festgelegten Dosis getestet
- **Wer kann in die Studie eingeschlossen werden?** Kinder und junge Erwachsene (2 – 25 Jahre alt) mit SMA Typ II oder III *

- **Studiendesign:** Die SUNFISH-Studie besteht aus zwei Teilen.



- **Gegenwärtiger Stand:** Die Rekrutierung von 10 Erwachsenen und Jugendlichen für Part 1 für die niedrigere Dosis von RG7916 (Gruppe A) und von 9 Kindern (Gruppe B) ist abgeschlossen ***. Für Part 1 für die höhere Dosis werden gegenwärtig Patienten rekrutiert.
- **Überprüfung der Sicherheit:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll geplant, überprüft eine Sicherheitskommission alle Sicherheitsdaten der Teilnehmer der SUNFISH-Studie. Nach der Überprüfung aller Sicherheitsdaten aus der Gruppe mit der niedrigeren Dosis, die der Gruppe B in Part 1 gegeben wurde, hat das Komitee befürwortet, dass die SUNFISH-Studie wie geplant fortgeführt wird.
- **Zukünftige Planung:** Part 2 wird voraussichtlich in der 2. Jahreshälfte 2017 beginnen und weitere Länder und Zentren einschließen.

* Interessierte Teilnehmer müssen alle Kriterien erfüllen, die für die SUNFISH-Studie gefordert sind, bevor sie eingeschlossen werden können.

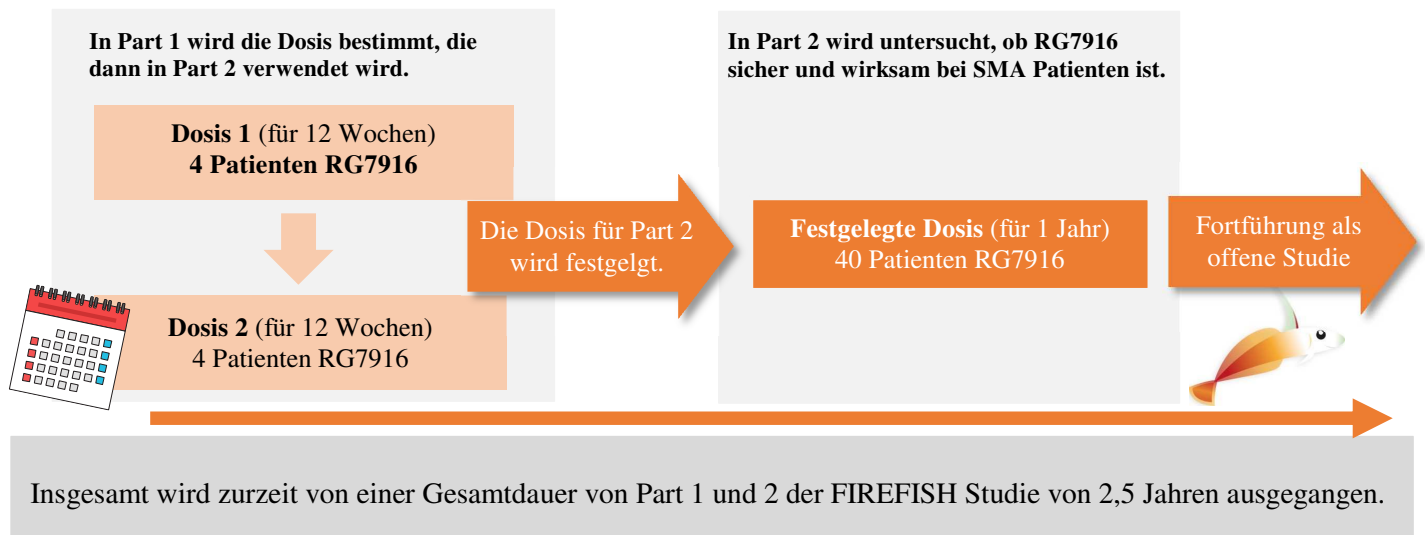
** Dieses aktuelle Protokoll hängt von der Zustimmung der Zulassungsbehörden ab.

*** Möglicherweise werden in Part 1, Dosis Level 1, Gruppe B zusätzliche Patienten rekrutiert.

FIREFISH

- **Ziel der Studie:** Die Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 bei Säuglingen im Alter von 1 – 7 Monaten mit SMA Typ I feststellen.
 - In Part 1 wird die Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 in zwei verschiedenen Dosen untersucht.
 - In Part 2 wird die Wirksamkeit und Sicherheit der in Part 1 der Studie bestimmten Dosis untersucht.

- **Wer kann teilnehmen?** Säuglinge im Alter von 1 – 7 Monaten mit SMA Typ I *

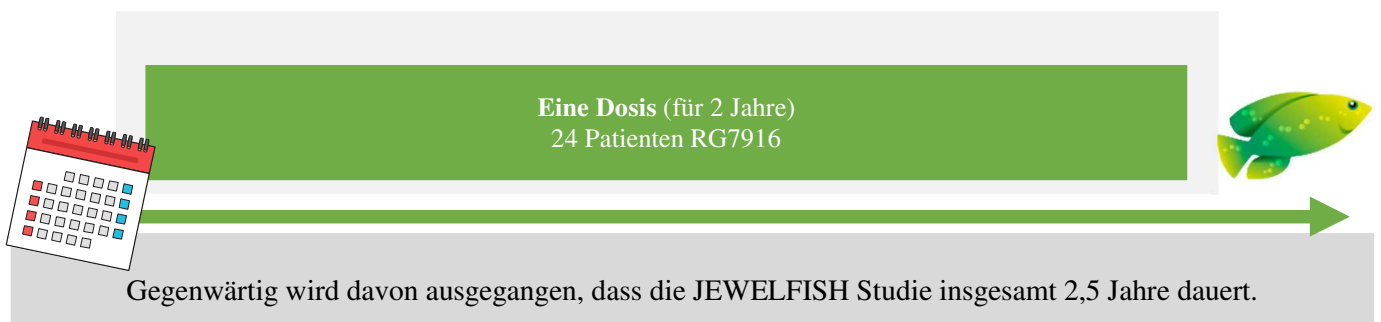


- **Gegenwärtiger Stand:** Der erste Säugling hat RG7916 im Dezember 2016 bekommen und die Studie geht in Europa voran. FIREFISH Part 1 wird in den kommenden Monaten in weiteren Ländern und Zentren eröffnet werden, auch in den USA.
- **Überprüfung der Sicherheit:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll geplant, überprüft eine Sicherheitskommission alle Sicherheitsdaten der Teilnehmer der FIREFISH-Studie.
- **Zukünftige Planung:** Part 2 wird voraussichtlich in der 2. Jahreshälfte 2017 anfangen und weitere Länder und Zentren einschließen.

* Interessierte Teilnehmer müssen alle Kriterien erfüllen, die für die FIREFISH-Studie gefordert sind, bevor sie eingeschlossen werden können

JEWELFISH

- **Ziel der Studie:** Die Sicherheit und Verträglichkeit von RG7916 zu prüfen
- **Wer kann teilnehmen?** Patienten mit SMA, die schon eine Therapie erhalten haben, die das SMN2-Gen beeinflusst (entweder im Rahmen der MOONFISH-Studie oder eine andere Therapie, die das SMN2-Gen beeinflusst) *



- **Gegenwärtiger Stand:** Der erste Patient hat die erste Dosis in einem US-Zentrum erhalten.

- **Überprüfung der Sicherheit:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll geplant, überprüft eine Sicherheitskommission alle Sicherheitsdaten der Teilnehmer der JEWELFISH-Studie.
- **Zukünftige Planung:** Weiteres Screening und Einschluss von Patienten an Zentren in den USA und in Europa ist geplant.

* Interessierte Teilnehmer müssen alle Kriterien erfüllen, die für die JEWELFISH-Studie gefordert sind, bevor sie eingeschlossen werden können

Wie kann ich oder meine Familie herausfinden, wie eine Teilnahme an SUNFISH, FIREFISH oder JEWELFISH möglich ist?

- **Bitte setzen Sie sich mit ihrem Arzt in Verbindung, wenn Sie glauben, dass Sie oder ein Familienmitglied für eine dieser Studien infrage kämen**
 - Sie können auch die Webseite: <http://www. Roche-sma-clinicaltrials.com/> besuchen, um noch mehr über unsere Studien zu lesen.
 - Ihre nationale Selbsthilfevereinigung hat möglicherweise mehr Informationen oder Möglichkeiten, diese zu erhalten; unter diesem Link finden Sie eine Liste von Organisationen:
<http://www.smafoundation.org/about-sma/sma-organizations-worldwide>

Wie kann ich mich noch weiter informieren?

- Unter diesen beiden Links <http://www.clinicaltrials.gov> und <http://www.clinicaltrialsregister.eu> können sie mehr über SUNFISH, FIREFISH und JEWELFISH erfahren.
- Wir werden Sie weiterhin über Neuigkeiten und den Fortgang unserer Studien auf dem Laufenden halten

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

Mit freundlichen Grüßen

Dr. med. Sangeeta Jethwa

Head, Patient Partnership, Rare Diseases
Roche Pharma Research & Early Development
Roche Innovation Centre Basel, Schweiz

aus dem Englischen übersetzt: Dr. Inge Schwersenz