

Basel, Freitag, 13. November 2015

Sehr geehrte Vorstandsmitglieder von SMA Europe,

wir möchten uns für die Übermittlung Ihrer Fragen zu unseren Fortschritten in der Entwicklung von Olesoxime bedanken. Während der vergangenen Monate hatten wir die Möglichkeit, uns mit vielen Patientenorganisationen zu treffen. Die Entschlossenheit, mit der Sie, die Familien und Pflegenden, sich für die Belange Ihrer geliebten Angehörigen mit SMA einsetzen, hat uns beeindruckt und unsere eigenen Bemühungen klein erscheinen lassen. Ihre Geschichten und Erfahrungen zeigen die Dringlichkeit, mit der neue Therapien wie Olesoxime vorangetrieben werden müssen, um den vielen Herausforderungen von SMA zu begegnen. Wir möchten diese Gelegenheit nutzen, um Ihre dringlichste Frage zu beantworten – Wann wird Olesoxime für Menschen mit SMA zur Verfügung stehen?

Seit der Übernahme von Trophos im März 2015 hat sich das Roche-Team darauf konzentriert, Olesoxime so schnell wie möglich der SMA-Gemeinde zur Verfügung zu stellen. So schnell wie möglich ist für uns eine feststehende Verpflichtung. Die Anstrengungen unseres Teams während der vergangenen 8 ½ Monate bringen nun die ersten greifbaren Resultate hervor und es wurden zwei Meilensteine erreicht.

Als erstes sind wir froh darüber, mitteilen zu können, dass alle Patienten, die an der Trophos-Studie teilgenommen haben, im Rahmen einer open-label-Folgestudie (d. h. alle Patienten bekommen Medikament, Anm. d. Übers.) wieder mit der Therapie beginnen können. Von Beginn an haben wir die feste Zusage gemacht sicherzustellen, dass Patienten, die Olesoxime bekommen haben, wieder mit der Therapie beginnen können ohne eine weitere Unterbrechung. Noch vor dem Ende des Jahres werden die ersten Patienten, die an der Trophos-Studie teilgenommen haben, wieder therapiert werden und im Laufe der nächsten sechs Monate werden alle verbleibenden Patienten aus der Trophos-Studie von ihrem behandelnden Arzt angerufen werden, sobald die Studie vom Studienzentrum, den Regulierungsbehörden und dem Ethikkomitee in ihrem Land genehmigt wurde.

Dieser erste Fortschritt ist das Ergebnis einer konzentrierten Anstrengung unserer technischen Experten, denen es nach der Übernahme gelungen ist, eine Produktion in kleinem Maßstab in die Wege zu leiten. Bei der Übernahme waren von dem Produkt weder Vorräte vorhanden noch konnte auf einen sofort verfügbaren Produktionsprozess zurückgegriffen werden. Parallel dazu hat unser Studienteam zusammen mit den Studienzentren und den lokalen Genehmigungsbehörden daran gearbeitet, dass keine Verzögerungen zwischen der Verfügbarkeit des Medikaments und der Wiederaufnahme der Behandlung der Studienpatienten entstehen. Durch diese vereinte Anstrengung wird es möglich, dass in weniger als zehn Monaten nach der Übernahme die SMA-Patienten wieder behandelt werden können.

Zweitens haben wir an der Zusammenstellung der Unterlagen gearbeitet, die nötig sind, damit die Genehmigungsbehörden Olesoxime beurteilen können. Damit Patienten mit SMA Zugang zu neuen Therapien haben können, ist die Genehmigung der Zulassungsbehörden notwendig. Der Dialog mit den Zulassungsbehörden ist im Gange und wir werden in der ersten Hälfte 2016 Klarheit über die weiteren notwendigen Schritte haben. Nach unserem gegenwärtigen Zeitplan beabsichtigen wir die zur Zulassung notwendigen Dokumente in der ersten Hälfte der Jahres 2017 vorzulegen.

Uns ist bewusst, dass das für Patienten und Familien mit SMA sehr weit entfernt erscheinen muss. Warum dauert das so lange? Der Prozess einer Produktion in großem Maßstab und das Produkt dieses Produktionsprozesses müssen beide von den Regulierungsbehörden geprüft und für zulässig erklärt werden. Dieser Prozess besteht aus vielen Schritten. Um einige zu benennen: Die Technik des Produktionsprozesses im großem Maßstab; die Validierung dieses Prozesses, um die gleichbleibende Qualität und Stabilität des Produktes sicherzustellen; die Bedingungen für die

Lagerung, Abfülleinrichtung und Verpackung bereitzustellen. Diese Vorgänge sind hochkomplex und zeitintensiv. Es steht in unserer Verantwortung als Firma, sicherzustellen, dass das Produkt den von den Zulassungsbehörden erstellten Regeln und Richtlinien entspricht. Wir sind uns darüber im Klaren, dass unser Zeitplan für die Patienten nicht leicht zu akzeptieren ist. Wir können jedoch versichern, dass wir mit Hochdruck daran arbeiten und mit den Zulassungsbehörden im Gespräch sind, um Olesoxime den Patienten mit SMA zur Verfügung zu stellen.

Uns sind die emotionalen Belastungen und das daraus entstehende Bedürfnis nach einer sofortigen Behandlungsmöglichkeit sehr bewusst, die mit einer progressiven Erkrankung wie SMA verbunden sind. Deshalb arbeiten wir auch an anderen Möglichkeiten, um Olesoxime für Patienten zugänglich zu machen, die nicht an der Trophos-Studie teilgenommen haben. Dafür kommt ein „Pre-Approval-Access“ (PAA) zum „Unauthorized Medicinal Product“ (UMP) für „Compassionate Use“ in Betracht (Anm. d. Übers: Das bedeutet einen Zugang zu einem noch nicht zugelassenen Medikament im Rahmen eines Härtefallprogramms). Wir arbeiten daran, schnell voranzukommen und einen zeitnahen Zugang zu dem Medikament für SMA-Patienten sicherzustellen. Es ist uns jedoch zum jetzigen Zeitpunkt nicht möglich, eine Aussage zu einem möglichen Zeitpunkt für einen PAA zu treffen. Das ist in hohem Maße von einer Vielzahl von Faktoren abhängig, von denen eine ganze Anzahl nicht in unserer Hand liegt. Uns ist aber das Bedürfnis zur Beantwortung dieser Frage so bald wie möglich sehr bewusst. Deshalb verpflichten wir uns, sie Mitte 2016, wenn uns die notwendigen und erforderlichen Informationen zur Verfügung stehen, erneut zu informieren. Die Position von Roche zu einem Härtefallprogramm für ein medizinisches Prüfpräparat kann unter folgendem Link nachgelesen werden:

http://www.roche.com/position_on_pre_approval_access_on_investigational_medicinal_products.pdf

Uns ist das Bedürfnis nach Informationen über unsere Entwicklungen für SMA bewusst und wir fühlen uns verpflichtet, sie zu informieren, wenn wir wichtige Informationen mitzuteilen haben. Bitte verstehen sie die Zeiten, in denen wir keine Informationen mitteilen, nicht als Zeit des Nichtstuns. Wir arbeiten mit dem Ziel, Olesoxime den Patienten so bald wie möglich zur Verfügung zu stellen. Die Entwicklung eines pharmazeutischen Produktes ist ein langer und hochkomplexer Prozess, bei dem wichtige Meilensteine manchmal Monate voneinander entfernt liegen. Es ist uns bewusst, dass Zeit die entscheidende Rolle für Familien und Patienten mit SMA spielt. Regelmäßige Information, um ihre entscheidenden Fragen zu beantworten, ist der beste Weg, um bei unserem gemeinsamen Ziel voranzukommen.

Am Ende möchten wir betonen, dass die Hoffnungen und die Entschlossenheit in den Anstrengungen, die Familien und Pflegenden täglich für ihre geliebten Angehörigen mit SMA unternehmen, für uns sehr inspirierend sind – ihre Geschichten sind uns eine ständige Motivation. Wir möchten diesen Personen und Familien unseren Dank aussprechen: Danke für die unermüdlichen Anstrengungen und die Beharrlichkeit, mit der sie den Patienten mit SMA Hoffnung geben möchten.

Bitte zögern sie nicht, uns zu kontaktieren falls sie Fragen haben sollten.

Mit freundlichen Grüßen

Das Roche Olesoxime-Team

Übersetzung: Dr. Inge Schwersenz