

Liebe SMA Community,

uns allen bei Roche ist es ein wichtiges Anliegen, SMA-Patienten dringend benötigte Therapien zur Verfügung zu stellen.

Es freut uns, Ihnen aktuelle Informationen zu unseren experimentellen, oral verfügbaren Wirkstoffen Olesoxime und RG7916 geben zu können, sowie zu den drei klinischen Studien mit RG7916, die derzeit Patienten rekrutieren:

- SUNFISH (SMA Typ 2/3), FIREFISH (SMA Typ 1) und JEWELFISH (vorbehandelte Patienten mit SMA Typ 2/3).

### **Olesoxime**

- Olesoxime ist ein oral verfügbarer Wirkstoff, der die Mitochondrienfunktion aufrechtzuerhalten scheint und so die anhaltende Funktionsfähigkeit von Zellen unterstützt
- Die European Medicines Agency (EMA) und die US Food and Drug Administration (FDA) haben empfohlen, in einer Phase-III-Studie zusätzliche Daten zur Risiko-Nutzen-Relation zu erheben
- Wir erörtern derzeit die Empfehlungen der EMA und der FDA zu einer Phase-III-Studie mit Olesoxime und halten Sie über die weitere Entwicklung in den nächsten Monaten auf dem Laufenden

### **RG7916**

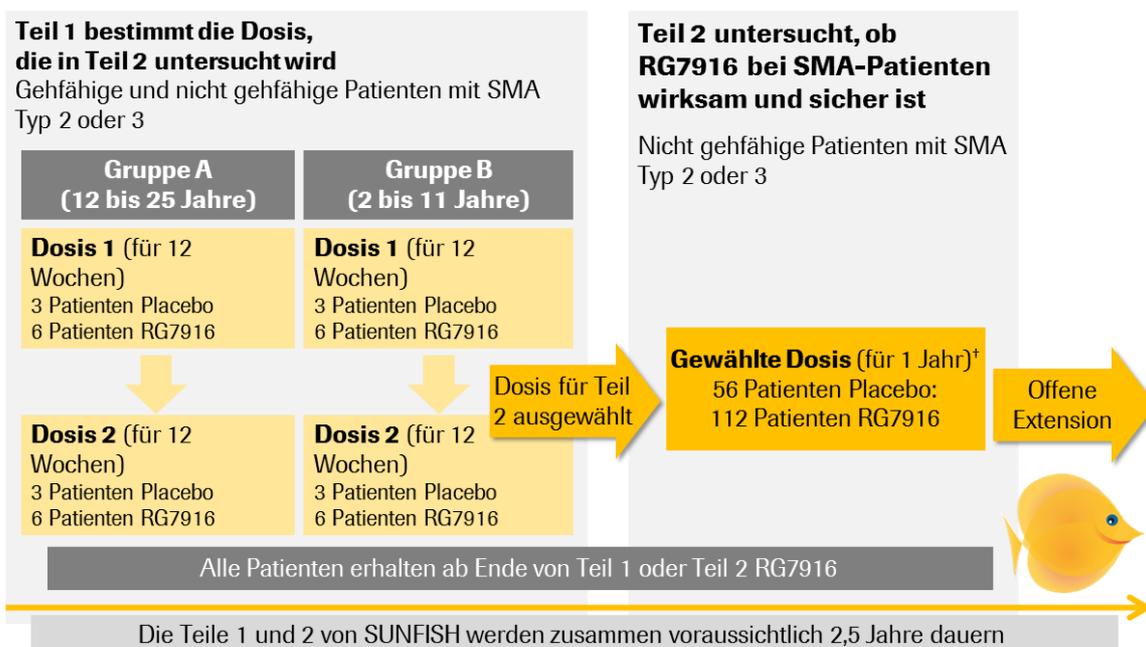
- RG7916 ist ein oral verfügbarer SMN2-Splicing-Modifier, der sich in den Geweben des gesamten Körpers verteilt
- Die Substanz befindet sich in der klinischen Entwicklung, die in Zusammenarbeit mit PTC Therapeutics und der SMA Foundation durchgeführt wird
- RG7916 hat von der FDA den Orphan Drug Status erhalten

### **Welche klinischen Studien zu RG7916 rekrutieren zur Zeit Patienten?**

- Zur Zeit rekrutieren drei klinische Studien zu RG7916 neue Teilnehmer: SUNFISH, FIREFISH und JEWELFISH
- Potenzielle Teilnehmer müssen alle Einschlusskriterien erfüllen, bevor sie in eine der Studien zu RG7916 aufgenommen werden können

## SUNFISH

- **Ziel:** Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 bei Patienten mit SMA Typ 2 oder 3
  - Teil 1 untersucht die Sicherheit und Verträglichkeit von RG7916 in zwei verschiedenen Dosierungen
  - Teil 2 untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit von RG7916 in der zuvor in Teil 1 ausgewählten Dosierung
- **Für wen kommt die Teilnahme in Frage?** Kinder, Jugendliche und junge Erwachsene (2–25 Jahre) mit SMA Typ 2 oder 3\*
- **Studiendesign:** Die Studie SUNFISH besteht aus 2 Teilen



- **Aktueller Status:** Für Teil 1 mit Dosisniveau 1 (niedrigere Dosis RG7916) bei 10 Erwachsenen/Jugendlichen (Gruppe A) sowie 9 Kindern (Gruppe B)<sup>‡</sup> ist die Rekrutierung abgeschlossen. Teil 1 mit Dosisniveau 2 (höhere Dosis) rekrutiert derzeit Patienten.
- **Sicherheitsanalyse:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll vorgesehen, begutachtet ein Sicherheits-Gutachterausschuss sämtliche Sicherheitsdaten aller SUNFISH-Teilnehmer. Nach der Begutachtung der Sicherheitsdaten aus Gruppe B, die in Teil 1 der Studie die niedrigere Dosis erhalten hatte, empfahl der Gutachterausschuss, die SUNFISH-Studie wie geplant fortzusetzen
- **Künftige Entwicklung:** Teil 2 wird voraussichtlich in der zweiten Jahreshälfte 2017 beginnen, dabei werden zusätzliche Studienzentren in weiteren Ländern hinzukommen

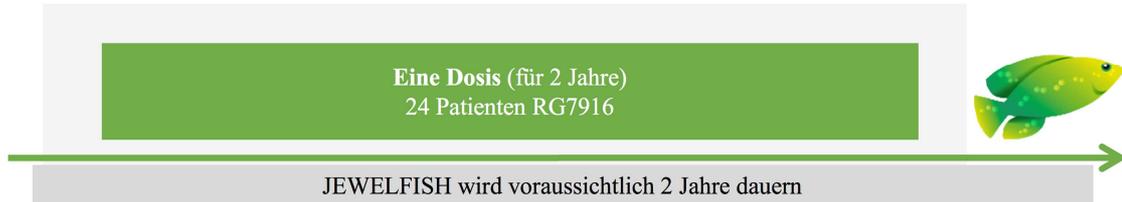
\* Potenzielle Teilnehmer müssen alle Einschlusskriterien erfüllen, bevor sie in SUNFISH aufgenommen werden können

<sup>†</sup> Dieses aktualisierte Protokoll ist von den Zulassungsbehörden noch nicht endgültig genehmigt

<sup>‡</sup> In Gruppe B mit Dosisniveau 1 des Teils 1 könnten weitere Patienten aufgenommen werden

## JEWELFISH

- **Ziel:** Untersuchung der Sicherheit und Verträglichkeit von RG7916
- **Für wen kommt die Teilnahme in Frage?** SMA-Patienten die zuvor eine auf SMN2 gerichtete Therapie erhalten haben (entweder in der MOONFISH-Studie zu RG7800 oder einer anderen Studie mit einer auf SMN2 gerichteten Therapie)\*



- **Aktueller Status:** Der erste Teilnehmer hat an einem US-amerikanischen Studienzentrum die erste Dosis erhalten
- **Safety:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll vorgesehen, begutachtet ein Sicherheits-Gutachterausschuss sämtliche Sicherheitsdaten aller JEWELFISH-Teilnehmer.
- **Künftige Entwicklung:** Screening und Rekrutierung von weiteren Patienten an Zentren in den USA und Europa sind geplant

\* Potenzielle Teilnehmer müssen alle Einschlusskriterien erfüllen, bevor sie in JEWELFISH aufgenommen werden können

## FIREFISH

- **Ziel:** Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit von RG7916 bei Säuglingen im Alter von 1 bis 7 Monaten mit SMA Typ 1
  - Teil 1 untersucht die Sicherheit und Verträglichkeit von RG7916 in zwei verschiedenen Dosierungen
  - Teil 2 untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit von RG7916 in der zuvor in Teil 1 ausgewählten Dosierung
- **Für wen kommt die Teilnahme in Frage?** Säuglinge im Alter von 1-7 Monaten mit SMA Typ 1\*
- **Studiendesign:** Die Studie FIREFISH besteht aus 2 Teilen



- **Aktueller Status:** Der erste Teilnehmer erhielt die erste Dosis RG7916 im Dezember 2016, die Studie läuft in Europa. Für FIREFISH Teil 1 werden in den nächsten Monaten zusätzliche Studienzentren in weiteren Ländern (darunter auch die USA) eröffnet
- **Sicherheit:** Die Sicherheit der Studienteilnehmer hat für uns oberste Priorität. Wie im Studienprotokoll vorgesehen, begutachtet ein Sicherheits-Gutachterausschuss sämtliche Sicherheitsdaten aller FIREFISH-Teilnehmer.
- **Künftige Entwicklung:** Teil 2 wird voraussichtlich in der zweiten Jahreshälfte 2017 beginnen, dabei werden zusätzliche Studienzentren in weiteren Ländern hinzukommen

\* Potenzielle Teilnehmer müssen alle Einschlusskriterien erfüllen, bevor sie in FIREFISH aufgenommen werden können

**Wo erhalte ich oder meine Familie Informationen zur Teilnahme an SUNFISH, FIREFISH oder JEWELFISH?**

- Bitte fragen Sie ihren behandelnden Arzt an, ob er die Teilnahme an einer dieser Studien für Sie bzw. ihr Familienmitglied in Betracht ziehen würde.
- Unter <http://www.roche-sma-clinicaltrials.com/> finden Sie weitere Informationen zu unserem Studienprogramm
- Ihre regionale Patientengruppe verfügt vermutlich ebenfalls über weiterführende Informationen und Ressourcen; eine Liste der SMA-Patientenorganisationen finden Sie unter <http://www.smafoundation.org/about-sma/sma-organizations-worldwide>

**Wo erhalte ich weitere Informationen?**

- Weitere Informationen zu SUNFISH, FIREFISH und JEWELFISH finden Sie auf den Websites [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) und <https://www.clinicaltrialsregister.eu/>
- Wir veröffentlichen regelmäßig aktuelle Informationen zur Entwicklung unserer Studien

Wenn Sie weitere Fragen haben oder die Inhalte dieses Updates weiter diskutieren möchten, kontaktieren Sie mich bitte unter [sangeeta.jethwa@roche.com](mailto:sangeeta.jethwa@roche.com).

Mit freundlichen Grüßen

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