



Grenzach-Wyhlen, 26. Februar 2021

Positives CHMP-Votum für Risdiplam

Liebe SMA Community in Deutschland,

im Rahmen unserer laufenden Zusammenarbeit und Ihrem Wunsch folgend, aktuelle Informationen zum klinischen Entwicklungsprogramm für Risdiplam zu erhalten, möchten wir Sie über einen wichtigen Meilenstein im Zusammenhang mit unserem europäischen Zulassungsantrag informieren. Heute hat der Ausschuss für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (European Medicines Agency, EMA) die Zulassung von Risdiplam für die Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patienten ab einem Alter von mindestens 2 Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des *SMN2*-Gens empfohlen. Die positive Empfehlung erfolgte im Rahmen eines beschleunigten Bewertungsverfahrens, das der CHMP den Herstellern gewährt, wenn ein Arzneimittel voraussichtlich von großem Interesse für die öffentliche Gesundheit und eine therapeutische Innovation ist.¹

Die Empfehlung des CHMP basiert auf Daten aus zwei Zulassungsstudien, die die Wirksamkeit und Sicherheit von Risdiplam bei symptomatischen Säuglingen im Alter von 2 bis 7 Monaten mit SMA Typ 1 (FIREFISH-Studie) und bei Personen im Alter von 2 bis 25 Jahren mit SMA Typ 2 oder 3 (SUNFISH-Studie) untersuchen. In beiden Studien wurde eine klinisch bedeutsame Wirksamkeit von Risdiplam bei einem günstigen Sicherheitsprofil nachgewiesen. Risdiplam ist ein flüssiges, einmal täglich zu verabreichendes Arzneimittel und kann zu Hause über den Mund oder bei Bedarf über eine Ernährungssonde eingenommen werden.

Die positive Stellungnahme des CHMP wird nun an die Europäische Kommission (EK) weitergeleitet, die die Genehmigung für das Inverkehrbringen von zentral zugelassenen Arzneimitteln in der Europäischen Union (EU) erteilt. Die EK wird die CHMP-Empfehlung prüfen und ihre endgültige Entscheidung innerhalb von etwa zwei Monaten treffen.² Eine positive Entscheidung der EK bedeutet, dass Risdiplam in Deutschland sowie in allen anderen 26 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie in Island, Norwegen und Liechtenstein zugelassen ist. Mit der Zulassung durch die EK wird Risdiplam in Deutschland unverzüglich zur Verfügung stehen.

Mit Erteilung der Zulassung und der anschließenden Marktverfügbarkeit werden dann auch die rechtlichen Rahmenbedingungen für die Fortführung des Risdiplam Härtefallprogramms nicht mehr gegeben sein, so dass das Härtefallprogramm in Deutschland gemäß § 5 Absatz 1 der Arzneimittelhärtefallverordnung mit der tatsächlichen Marktverfügbarkeit von Risdiplam endet. Patienten können dann gemäß Zulassung mit Risdiplam behandelt werden. Die lückenlose Behandlung und ein reibungsloser Übergang in die Routineversorgung sind uns außerordentlich wichtig. Zum genauen Ablauf des Übergangs vom Risdiplam Härtefallprogramm zur Marktware, sowie was es zu beachten gibt, informiert Roche die beteiligten Härtefall-Zentren direkt. Patienten im Härtefallprogramm wenden sich bei Fragen nach Zulassung am besten an ihren behandelnden Arzt.

Roche Pharma AG

Emil-Barell-Straße 1
D-79639 Grenzach-Wyhlen
Tel. +49 (0)7624 14-0
Fax +49 (0)7624 1019

Sitz der Gesellschaft:
Grenzach-Wyhlen
Registergericht:
Freiburg HRB 410096

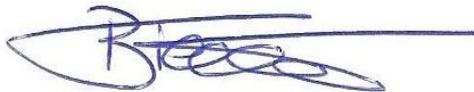
Aufsichtsratsvorsitzender:
Dr. Thomas Schinecker
Vorstand:
Prof. Dr. Hagen Pfundner

Wir möchten an dieser Stelle den Hunderten von Menschen und Familien, die an unseren klinischen Studien teilnehmen, sowie den deutschen Patientenorganisationen und den vielen anderen Patientengruppen in aller Welt unseren aufrichtigen Dank aussprechen. Ihre Partnerschaft, Ihr Vertrauen und Ihre kontinuierliche Unterstützung waren entscheidend für das Erreichen dieses wichtigen Meilensteins. Wir sind stolz darauf, Teil dieser Gemeinschaft zu sein, und freuen uns darauf, unsere Zusammenarbeit fortzusetzen, um die Herausforderungen zu meistern, die bei der SMA noch bestehen.

Falls Sie weitere Fragen zu dieser Mitteilung haben, können Sie sich gerne an mich wenden. Für Rückfragen von Patienten und deren behandelnder Ärzte, steht Ihnen gerne unsere Medical Information zur Verfügung: grenzach.medical_information@roche.com, Tel. 07624-142015

Mit freundlichen Grüßen

Roche Pharma AG
i.V.



Dr. Belinda von Niederhäusern im Namen des SMA-Teams Roche Pharma AG Deutschland
Senior Patient Partnership Manager Rare Diseases (SMA)

Referenzen:

1. EMA. Beschleunigte Bewertung. Verfügbar unter: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/accelerated-assessment>. Letzter Zugriff im Januar 2021.
2. Zulassungsverfahren – Das zentralisierte Verfahren. Verfügbar unter: https://ec.europa.eu/health/authorisation-procedures-centralised_en. Letzter Zugriff im Februar 2021.