



Grenzach-Wyhlen, 11. Juni 2021

Liebe SMA Community in Deutschland,

wir freuen uns, Sie über neue Zwischenergebnisse aus zwei Studien informieren zu können, in denen Risdiplam (Evrysdi®)▼ bei Menschen mit spinaler Muskelatrophie (SMA), die zuvor mit anderen gegen SMA gerichteten Therapien behandelt wurden (JEWELFISH), und bei präsymptomatischen Säuglingen (RAINBOWFISH) untersucht wurde. Die Ergebnisse – über die wir Sie auf Ihre Bitte hin, regelmäßig informiert zu werden, unterrichten – werden auf dem 2021 Virtual SMA Research & Clinical Care Meeting der Cure SMA vom 9. bis 11. Juni 2021 vorgestellt. Einen ausführlicheren Einblick in die Ergebnisse finden Sie in der englischen Pressemitteilung unter <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2021-06-11.htm>.

## **JEWELFISH**

Die erste Studie, die vorgestellt wird, ist JEWELFISH, eine Studie zur Untersuchung der Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Risdiplam bei Menschen mit SMA Typ 1-3 im Alter von 1 bis 60 Jahren, die zuvor mit einer anderen gegen SMA gerichteten Therapie, einschließlich Nusinersen und Onasemnogen-Abeparvovec, behandelt worden waren. In die Studie JEWELFISH wurde die breiteste Patientenpopulation aufgenommen, die jemals in einer SMA-Studie untersucht wurde.

In der Studie JEWELFISH wurde gezeigt, dass die Sicherheit von Risdiplam mit der in früheren Studien übereinstimmt. Es traten keine behandlungsbedingten unerwünschten Ereignisse (UEs) auf, die zu einem Abbruch oder einer Unterbrechung der Behandlung führten, wobei einige Patienten mehr als drei Jahre behandelt wurden. Die häufigsten UEs bei allen Patienten waren Infektion der oberen Atemwege (17 %), Fieber (17 %), Kopfschmerzen (16 %), Übelkeit (12 %), Durchfall (11 %), Nasopharyngitis (10 %) und Erbrechen (8 %). Die häufigsten schwerwiegenden UEs waren Pneumonie (2 %), Infektion der unteren Atemwege (2 %), Infektion der oberen Atemwege (2 %) und Atemversagen (2 %).

Alle mit Risdiplam behandelten Patienten zeigten unabhängig von der vorangegangenen Behandlung oder dem SMA-Typ einen anhaltenden, mehr als doppelten Anstieg des medianen SMN-Proteinspiegels im Vergleich zum Ausgangswert (d. h. zum Wert vor Studienbeginn). Darüber hinaus zeigten vorläufige explorative Wirksamkeitsdaten, dass es bei den mit Risdiplam behandelten Patienten nach einem Jahr Behandlung zu einer Stabilisierung der motorischen Funktion kommt, was anhand der mit dem Messinstrument Motor Function Measure (MFM-32) gemessenen Veränderung der motorischen Funktion gegenüber dem Ausgangswert beurteilt wurde.

Die Studie ist unverblindet (d. h., die Teilnehmer und Wissenschaftler wissen, welche Behandlung verabreicht wird) und läuft noch. Die vollständige Analyse erfolgt nach 24 Monaten.

**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

## RAINBOWFISH

Vorläufige Daten der zweiten Studie, RAINBOWFISH, werden ebenfalls vorgestellt. In dieser Studie werden die Wirksamkeit und Sicherheit von Risdiplam bei Säuglingen im Alter bis zu sechs Wochen mit präsymptomatischer SMA untersucht.

Alle fünf für mindestens 12 Monate mit Risdiplam behandelten Säuglinge konnten ohne Unterstützung sitzen, sich umdrehen und krabbeln. Zwei der fünf Säuglinge hatten zwei SMN-Kopien und drei hatten mehr als zwei Kopien. Vier der Säuglinge waren in der Lage, ohne Hilfe zu stehen und selbständig zu laufen. Außerdem erreichten vier Säuglinge eine maximale Punktzahl von 64 auf der CHOP-INTEND\*-Skala und ein Säugling erzielte 63 Punkte. Über die Daten zum primären Endpunkt, der Anzahl der Säuglinge, die mindestens fünf Sekunden lang ohne Unterstützung sitzen können, wird berichtet, wenn alle Patienten der primären Analyse ein Jahr lang behandelt worden sind.

In der Studie RAINBOWFISH traten keine UEs auf, die zum Rücktritt von der Studie oder zur Unterbrechung der Behandlung führten. Die häufigsten UEs waren Nasenverstopfung (33 %), Husten (25 %), Zahnen (25 %), Erbrechen (25 %), Ekzem (17 %), Bauchschmerzen (17 %), Durchfall (17 %), Gastroenteritis (17 %), Papeln (Hautausschlag; 17 %) und Fieber (17 %). RAINBOWFISH ist eine unverblindete Studie und läuft noch.

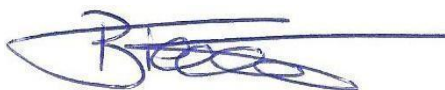
Die Untersuchung von Risdiplam in einer so breiten Patientenpopulation von präsymptomatischen Säuglingen bis hin zu 60-Jährigen war nur dank unserer engen Zusammenarbeit mit der SMA-Gemeinschaft möglich. Wir möchten daher allen Teilnehmern an unseren klinischen Studien sowie den Patientenorganisationen dafür danken, dass sie dazu beigetragen haben, dieses klinische Programm Wirklichkeit werden zu lassen. Wir wissen Ihre laufende Unterstützung sehr zu schätzen.

Falls Sie Fragen zu diesen Neuigkeiten haben, können Sie sich gerne an uns wenden. Für Rückfragen von Patienten und deren behandelnder Ärzte, steht Ihnen gerne unsere Medical Information zur Verfügung: [grenzach.medical\\_information@roche.com](mailto: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)

*\*Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders*

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Bitte melden Sie Nebenwirkungen an die Roche Pharma AG unter [grenzach.drug\\_safety@roche.com](mailto:grenzach.drug_safety@roche.com) oder Fax +49 7624/14-3183 oder an das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte unter [www.bfarm.de](http://www.bfarm.de) oder Fax: +49 228/207-5207.