

Grenzach-Wyhlen, 21. Juli 2023

Liebe Mitglieder der SMA-Community in Deutschland,

Gemäß Ihrer Anfrage nach wichtigen Updates zu Risdiplam, schreiben wir Ihnen heute mit der Mitteilung, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittel Agentur (EMA) heute eine befürwortende Stellungnahme abgegeben hat, in der die Genehmigung einer Indikationserweiterung für Risdiplam (Evrysdi) um alle Altersgruppen, einschließlich Säuglinge mit SMA von Geburt an, empfohlen wird.<sup>1</sup> Weitere Einzelheiten finden Sie in unserer Pressemitteilung [hier](#).

### **Was passiert als Nächstes?**

In der Europäischen Union (EU) ist Risdiplam derzeit für die Anwendung bei Patienten ab zwei Monaten mit SMA Typ 1, Typ 2 oder Typ 3 oder bei Patienten mit bis zu vier Kopien eines als *SMN2* bezeichneten Gens zugelassen.<sup>2</sup>

Die Empfehlung des CHMP wurde nun der Europäischen Kommission (EK) zur Überprüfung und zur endgültigen Entscheidung vorgelegt, die innerhalb von zwei Monaten zu erwarten ist. Ein positiver EK-Beschluss bedeutet, dass Risdiplam in allen 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie in Island, Norwegen und Liechtenstein für die Anwendung bei Menschen mit SMA von Geburt an zugelassen ist.

Bei SMA ist eine frühestmögliche Intervention mit krankheitsmodifizierender Therapie entscheidend, um einem anhaltenden und irreversiblen Verlust von Motoneuronen entgegenzuwirken.<sup>3</sup> Roche arbeitet aktiv mit Erstattungs- und Bewertungsstellen in der gesamten EU zusammen, um sich so schnell wie möglich auf die Anforderungen für Erstattungsentscheidungen einzustellen. Um Verzögerungen beim Zugang für Patienten zu minimieren, reichen wir in vielen Ländern Erstattungsdossiers ein, um die Kostenerstattung auf Babys unter zwei Monaten auszuweiten, bevor die Kommission die erwartete Entscheidung trifft.

### **Belege, die die CHMP-Empfehlung stützen**

Die Empfehlung des CHMP basiert auf den vorläufigen Sicherheits- und pharmakokinetischen Daten für 18 Säuglinge und den Wirksamkeitsdaten für 7 Säuglinge aus der laufenden RAINBOWFISH-Studie ([NCT03779334](#)), einer multizentrischen, unverblindeten, einarmigen Studie zur Untersuchung von Risdiplam bei Säuglingen ab Geburt bis sechs Wochen, mit genetisch diagnostizierter und präsymptomatischer SMA Typ 1.<sup>4</sup>

Die vorläufigen Wirksamkeitsdaten von RAINBOWFISH, die im März 2022 auf der Clinical and Scientific Conference der Muscular Dystrophy Association (MDA) vorgestellt wurden, zeigen, dass Säuglinge (n = 7), die mindestens ein Jahr lang mit Risdiplam behandelt wurden, in der Lage waren, innerhalb des Zeitrahmens gesunder Säuglinge zu sitzen, zu stehen und zu gehen.<sup>5</sup> Darüber hinaus stimmte das Sicherheitsprofil von Risdiplam bei präsymptomatischen Babys mit dem Sicherheitsprofil überein, welches in früheren Studien bei symptomatischen SMA-Patienten beobachtet wurde.

Die Rekrutierung von RAINBOWFISH wurde mit 26 Neugeborenen abgeschlossen, die bei der ersten Risdiplam-Dosis zwischen 16 und 40 Tage alt waren. Die Ergebnisse der Primäranalyse der Studie werden auf einer kommenden wissenschaftlichen Konferenz mit der Community geteilt.

Während wir daran arbeiten, Risdiplam zu den Menschen zu bringen, die es benötigen, sind wir der SMA-Community für ihr unerschütterliches Engagement und ihrer Teilnahme an klinischen Studien wie RAINBOWFISH, die es uns ermöglichen, wichtige Meilensteine wie den heutigen zu erreichen, sehr dankbar. Nichts davon wäre ohne Ihre Unterstützung möglich, und wir danken Ihnen für Ihre anhaltende Partnerschaft.

Nachfolgend finden Sie einige zusätzliche Informationen für Ihre Mitglieder. Bitte zögern Sie nicht, uns bei Fragen jederzeit zu kontaktieren.

Herzliche Grüße

*Christina Ankirchner*

Christina Ankirchner

Patient Partnership Manager SMA

*Sarah Kuld*

Sarah Kuld

Head Patient Partnership

Im Namen des gesamten SMA-Teams der Roche Pharma AG

## Häufig gestellte Fragen

- **Bedeutet das positive Gutachten des CHMP, dass Risdiplam nun in der EU für Babys von Geburt an zugelassen ist?**
  - Noch nicht. Die Empfehlung des CHMP wurde an die Europäische Kommission (EK) verwiesen, um eine endgültige Entscheidung zur Zulassung der Indikationserweiterung zu treffen. Eine Entscheidung wird in der Regel innerhalb von 67 Tagen getroffen.
  - Vorbehaltlich der Genehmigung durch die EK, entscheiden die Gesundheitsbehörden in den einzelnen Mitgliedstaaten der EU und des Europäischen Wirtschaftsraums, ob sie die Kosten für die Nutzung von Risdiplam in ihrem nationalen Gesundheitssystem erstatten.
  - Parallel dazu arbeitet Roche aktiv mit Kostenerstattungs- und Bewertungsstellen in ganz Europa zusammen, um Behandlungsverzögerungen zu minimieren
  
- **Wann wird Risdiplam in Europa für Menschen mit SMA von Geburt an zur Verfügung stehen?**
  - Risdiplam ist derzeit in Europa für die Behandlung von SMA in Patienten ab 2 Monaten verfügbar, bei denen SMA Typ 1, Typ 2 oder Typ 3 oder ein bis vier SMN2-Kopien diagnostiziert wurden.
  - Sollte die Europäische Kommission die Zulassungserweiterung innerhalb von 67 Tagen (ca. 2 Monate) genehmigen, wird die Indikation entsprechend aktualisiert.
  
- **Wann kann die SMA-Community eine vollständige Datenauslesung für RAINBOWFISH erwarten?**
  - Die Ergebnisse der Primärdaten-Analyse von RAINBOWFISH werden der Community auf einem bevorstehenden wissenschaftlichen Kongress im Jahr 2023 vorgestellt.

## Referenzen

1. European Medicines Agency. Evrysdi. Available at <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summariesopinion/evrysdi-0>. Accessed July 2023.
2. Evrysdi Summary of Product Characteristics 2021. Available at: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/evrysdi-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/evrysdi-epar-product-information_en.pdf). Last accessed: July 2023.
3. Day JW, et al. Advances and limitations for the treatment of spinal muscular atrophy. *BMC Pediatr.* 2022;22(1):632.
4. ClinicalTrials.gov: NCT03779334 (RAINBOWFISH). Available at: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03779334>. Last accessed: July 2023.
5. Finkel RS, et al, on behalf of the RAINBOWFISH Study Group. RAINBOWFISH: Preliminary efficacy and safety data in risdiplam-treated infants with presymptomatic SMA. Poster presented at: Muscular Dystrophy Association Clinical and Scientific Conference. 2022; Nashville, TN.