

21 Јули, 2020

Почитувана СМА заедница,

Како одговор на вашето барање, задоволство ни е да ги споделиме со вас информациите кои се однесуваат на испитувањето РЕСПОНД, ново испитување кое Biogen планира да го иницира.

Од досегашната соработката со СМА заедницата заклучивме дека и покрај значителниот напредок постигнат во последните години, сè уште има незадоволни потреби како и можности за подобрување на грижата за новороденчињата и децата со СМА. Достапните податоци од долгорочната студија за Золгензма (onasemnogene aberavovesc-xioi) покажуваат дека 4 од 10 пациенти се префрлиле на третман со нусинерсен.¹ Ова исто така е пријавено од секојдневното искуство.^{2, 3}

Преглед на студијата РЕСПОНД

Студијата РЕСПОНД ќе ја испитува клиничката корист и безбедноста на нусинерсенот кај новороденчиња и деца со спинална мускулна атрофија (СМА) кои сè уште имаат неисполнети клинички потреби по третманот со генска терапија (onasemnogene aberavovesc-xioi). Во студијата е предвидено да се вклучат 60 деца до 3 години, за кои е утврдено дека имаат потенцијал за дополнително клиничко подобрување по приемот на генската терапија (onasemnogene aberavovesc-xioi).

Примарната студиска група има за цел да вклучи 40 деца на возраст од 9 месеци или помлади (во моментот на првата доза на нусинерсен) кои имаат две копии на SMN2 (најверојатно ќе развијат СМА Тип 1) и добиле генска терапија (onasemnogene aberavovesc-xioi) на 6 месечна возраст или помали. Втората студиска група ќе вклучува 20 деца и ќе генерира податоци кај пациенти со поширок опсег на возраст (до 3 години за време на првата доза на СПИНРАЗА (nusinersen)). После скрининг периодот, учесниците ќе ја добијат одобрената доза од 12 mg на нусинерсен, односно четири дози на оптоварување проследено со дози на одржување на секои четири месеци, за време на двегодишниот период на студијата.⁴

РЕСПОНД претставува четврта фаза, отворена студија, така што и старателите на пациентите и нивните лекари знаат дека се третирани со nusinersen.

Оценка на ефикасност

Луѓето со СМА не создаваат доволно Survival Motor Neuron (SMN) протеин, кој е неопходен за одржување на моторните неврони кои што се одговорни за седње, одење, како и за некои основните животни функции, вклучувајќи дишење и голтање. Студијата РЕСПОНД ќе бара одговори, дали од докажаната ефикасност на нусинерсенот и неговата продукција на SMN протеинот, може и пациентите претходно третирани со генска терапија да имаат корист.

Ефикасноста на третманот ќе биде оценуван со проценка на моторната функција, дополнителни клинички исходи кај самиот пациент (на пр.голтање) и оптеретеноста на старателот. Исто така ќе го

мериме нивото на неурофиламентите како потенцијален маркер за активност на болеста (истражувачки крај).

Време

Компанијата планира да го достави протоколот за студијата до регулаторните тела во наредните месеци и има за цел првите квалификувани пациенти да бидат вклучени во студијата РЕСПОНД во првиот квартал од 2021 година.

Партнерско работење

Знаеме дека се уште постојат незадоволени потреби во однос на третманот кај пациентите со СМА и сме благодарни на сите семејства, старатели и истражители кои продолжуваат да ни помагаат да ја подобриме грижата за пациентите. СМА заедницата беше од клучно значење помагајќи да го оформиме дизајнот на студијата и да осигура дека мерењата за клинички исход што се користат се оние што се најважни за пациентите и нивните старатели. Студијата РЕСПОНД ќе помогне во прибирањето на дополнителни податоци и информативни одлуки за третман на новороденчињата и децата со СМА.

Како тим остануваме посветени, лојални партнери на оваа заедница, ќе продолжиме да бидеме достапни и на ваше барање во иднина да обезбедиме најнови информации.

Срдечен поздрав,

СМА тимот на Biogen

-
1. Zolgensma EU Summary of Product Characteristics (SmPC). Available at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-epar-productinformation_en.pdf. Accessed on July 13, 2020.
 2. Finkel R, et al. Presented at the Muscular Dystrophy Association's (MDA) 2020 Clinical & Scientific Conference.
 3. Harada Y, et al. Presented at the Muscular Dystrophy Association's (MDA) 2020 Clinical & Scientific Conference.
 4. SPINRAZA U.S. Prescribing Information. Available at: https://www.spinraza.com/content/dam/commercial/specialty/spinraza/caregiver/en_us/pdf/spinrazaprescribing-information.pdf. Accessed on July 13, 2020