

07. август 2020 година

Почитувани,

Како дел од нашето партнерство и одговор на вашето барање да добивате навремена информација во врска со програмата за клинички развој на лекот risdiplam, со задоволство го споделуваме со Вас долго очекуваното достигнување. Денес, Администрацијата за храна и лекови на САД (анг. Food and Drug Administration, FDA) го одобри лекот risdiplam за третман на спинална мускулна атрофија (СМА) кај возрасни и деца на возраст од 2 месеци и постари. Како дополние, risdiplam ќе биде регистриран под заштитено бренд име Evrysdi™ (ev-RIZ-dee) во САД.

На следниов [линк](#) можете да пристапите до соопштението.

Одобрувањето од страна на FDA се заснова пред сè на податоците од две студии, со кои се проценува ефикасноста и безбедноста на risdiplam кај симптоматски новороденчиња со тип 1 на СМА на возраст од 2 до 7 месеци (студијата FIREFISH) и кај луѓе со тип 2 или 3 на СМА на возраст од 2 до 25 години (студијата SUNFISH).

Оваа прва регулаторна пресвртница, одобрувањето на лекот risdiplam, беше цел на Рош, PTC Therapeutics и SMA Foundation кои ја започнаа соработката пред 9 години. Силата и решителноста на СМА заедницата постојано не инспирираше, бидејќи развиеме нова третманска опција која има потенцијал да влијае позитивно врз животот на пациентите. Денес го славиме нашето колективно остварување.

Нашата искрена благодарност е насочена кон стотиците пациенти и семејства кои учествуваат во нашите клинички студии, како и на многуте групи на пациенти ширум светот. Ви благодариме за вашето партнерство, доверба и континуираната поддршка што доведе до ова достигнување. Чест ни е што сме дел од оваа заедница и благодарни за сè што постигнавме работејќи заедно.

Како дополние на студиите FIREFISH и SUNFISH, кои беа основа за одобрување на лекот во САД, тековната програма за клинички развој на risdiplam вклучува повеќе од 450 лица со СМА. Програмата опфаќа пред-симптоматски доенчиња до возрасни лица со 60 години; учесници со широк спектар на симптоми и моторна функција, како и пациенти кои претходно биле лекувани со други лекови за СМА.

Додека објавуваме дека ова одобрување во САД е значајна пресвртница за заедницата на СМА, нашиот непоколеблив фокус останува да продолжиме да соработуваме со здравствените власти, владините агенции и други засегнати чинители низ целиот свет за да обезбедиме широк и брз пристап до risdiplam за сите пациенти кои може да има корист од третманот. Со задоволство ве известуваме дека имаме доставено барања за одобрување на лекот кои се разгледуваат од страна на регулаторните власти во Бразил, Чиле, Кина, Индонезија, Русија, Јужна Кореја и Тајван; и се надеваме дека денешното одобрување во САД е позитивен сигнал за идните новости ширум светот. Покрај тоа, во Европа, поднесувањето на

апликацијата за доделување на маркетинг авторизација до Европската агенција за лекови (анг. European Medicines Agency, EMA) е неминовна.

Очекуваме дека може да добиете прашања од вашата заедница за денешните новости, па затоа ве поттикнуваме без двоумење да не контактирате. Со нетрпение очекуваме да обезбедиме дополнителни информации за програмата за risdiplam како истите стануваат достапни.

Со почит,



Fani Petridis, on behalf of the Roche and Genentech SMA Team
Senior Global Patient Partnership Director, Rare Diseases (SMA)