

Компания Roche подтвердила эффективность рисдиплама | Roche confirme l'efficacité de risdiplam

Author: Лейла Бабаева, [Базель](#) , 30.04.2020.



(© F. Hoffmann-La Roche Ltd)

Швейцарская фармацевтическая компания со штаб-квартирой в Базеле опубликовала данные второй части клинического исследования FIREFISH, в котором оценивается воздействие препарата рисдиплам на младенцев в возрасте 1-7 месяцев со спинальной мышечной атрофией (СМА) 1-го типа.

|
La société pharmaceutique suisse basée à Bâle a publié les données de la deuxième partie de l'étude clinique FIREFISH, qui évalue l'utilisation de risdiplam chez les nourrissons bébés

de 1 à 7 mois atteints d'amyotrophie spinale de type 1.
Roche confirme l'efficacité de risdiplam

Спинальная мышечная атрофия (СМА) — редкое тяжелое наследственное нервно-мышечное заболевание, которое вызывает атрофию мышц и связанные с ней осложнения. СМА приводит к прогрессирующей потере нервных клеток в спинном мозге, которые контролируют движение мышц. В зависимости от типа СМА, физическая сила человека и его способность ходить, есть или дышать могут быть значительно снижены или полностью утрачены. Это заболевание является ведущей генетической причиной смертности младенцев и детей раннего возраста, также это одно из самых распространенных редких заболеваний, поражающее, по разным данным, одного из 6-11 тыс. детей.

Рисдиплам – это инновационный препарат, выпускаемый в форме порошка для приема внутрь в виде раствора. Рисдиплам является модификатором сплайсинга гена SMN2, с которого синтезируется белок выживаемости двигательных моторных нейронов (SMN) у пациентов со СМА. Препарат разработан для длительного повышения и поддержания уровня белка SMN как в центральной нервной системе, так и в периферических тканях организма. Roche проводит клинические исследования рисдиплама в рамках сотрудничества с Фондом СМА (SMA Foundation) и компанией PTC Therapeutics.

В [коммюнике](#) Roche отмечается, что лечение рисдипламом в течение 12 месяцев в рамках второй части исследования FIREFISH помогло обеспечить статистически и клинически значимое улучшение показателей моторной функции у детей в возрасте 1-7 месяцев со СМА 1-го типа. 29% детей могли сидеть без поддержки не менее пяти секунд после 12 месяцев лечения, результат был проанализирован в соответствии со шкалой общей моторики Бейли по оценке развития младенцев (третья редакция, BSID-III). В истории лечения СМА 1-го типа ни один ребенок еще «не достигал» такого результата. Кроме того, 18 (43,9%) детей были в состоянии держать голову прямо, 13 (31,7%) – перекатиться на бок, а двое (4,9%) – стоять, пользуясь поддержкой взрослых.

У трех детей в первые три месяца лечения возникли тяжелые осложнения с летальным исходом, однако авторы исследования не увидели связи с приемом рисдиплама. По истечении 12 месяцев 95% младенцев сохраняли способность глотать, а 89% могли питаться перорально. Эти результаты особенно обнадеживают, учитывая, что средний возраст детей в момент начала второй части исследования составил 5,3 месяца, «поэтому у них уже прогрессировало заболевание», - отметил профессор Лоран Серве, один из авторов исследования FIREFISH и детский невролог Оксфордского центра нервно-мышечных патологий MDUK. Наиболее частыми побочными эффектами были инфекции верхних дыхательных путей (46,3%), пневмония (39%), гипертермия (39%), запор (19,5%), ринофарингит (12,2%), ринит (12,2%) и диарея (9,8%).

Напомним, что 11 ноября 2019 года компания Roche объявила о положительных результатах второй части исследования SUNFISH, в котором оценивались эффективность и безопасность рисдиплама у больных в возрасте от 2 до 25 лет с СМА 2-го и 3-го типов. Также в ноябре прошлого года Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) приняло решение о приоритетном рассмотрении заявки на регистрацию рисдиплама. FDA

планировало представить свое заключение до 24 мая 2020 года, но позднее продлило срок рассмотрения заявки Roche и планирует вынести решение до 24 августа 2020 года. Продление связано с тем, что компания Roche передала в FDA дополнительные данные по препарату, в том числе из второй части исследования SUNFISH. 18 марта 2020 г. Roche сообщила о подаче в Министерство здравоохранения Российской Федерации заявки на регистрацию препарата рисдиплам для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА).

[отношения сша и швейцарии](#)

Статьи по теме

[Roche выпустит тест на антитела к коронавирусу](#)

[Roche и Nestlé – в числе европейских лидеров по прибыли](#)

[Компания Roche загрязняет атмосферу меньше конкурентов](#)

Source URL:

<http://www.nashagazeta.ch/news/sante/kompaniya-roche-podtverdila-effektivnost-risdiplama>