

Grenzach-Wyhlen, 02.04.2024

Liebe Mitglieder der SMA-Community,

Es war wirklich wundervoll und hat uns sehr gefreut, so viele von Ihnen kürzlich beim SMA Europe 4th Scientific International Congress in Ghent, Belgien, und auf der MDA Clinical and Scientific Conference in Orlando, U.S.A., zu sehen! Gemäß Ihrem Wunsch nach regelmäßigen Updates freuen wir uns, heute eine kurze Zusammenfassung der wichtigsten dort im März präsentierten Kongressdaten rund um Risdiplam, sowie ein Update zur Tabletten-Formulierung mit Ihnen zu teilen.

Ergebnisse zur Risdiplam Tablettenformulierung und nächste Schritte

Wir sehen, dass ein Bedarf nach Pflege- und Behandlungsoptionen besteht, die an die Bedürfnisse und Vorlieben des oder der Einzelnen angepasst werden können. Vor diesem Hintergrund haben wir im Rahmen einer Phase-1-Studie, die letztes Jahr abgeschlossen wurde, eine mögliche Tablettenformulierung von Risdiplam als zusätzliche Option zur derzeit verfügbaren oralen Lösung untersucht.

Die Studie ([NCT04718181](#)) bewertete eine Tablettenformulierung von 5 mg Risdiplam, die entweder im Ganzen geschluckt oder in einer kleinen Menge Trinkwasser gelöst werden konnte. Die Ergebnisse, die auf dem SMA Europe Kongress vorgestellt wurden, kamen zu dem Schluss, dass, egal ob komplett geschluckt oder aufgelöst:

- Die Formulierung als Tablette führte zu derselben Konzentration von Risdiplam im Körper, wie die derzeit verfügbare orale Lösung.
- Die Tabletten können mit oder ohne Nahrung verabreicht werden, da die Nahrungsaufnahme keinen Einfluss auf die Absorption der Tabletten hatte. Dies wurde auch für die orale Lösung demonstriert.
- Für die Tablettenformulierung wurden keine neuen Sicherheitssignale identifiziert.¹

Regulatorische Einreichungen bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) und der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) für die Formulierung als Tablette sind für das erste Halbjahr 2024 geplant.

Unabhängig leben und messen, was wichtig ist: die SMAIS-ULM und SUNFISH-Ergebnisse

Auf dem SMA Europe Kongress präsentierten wir Daten zum sogenannten SMA Independence Scale-Upper Limb Module (SMAIS-ULM) der Altersuntergruppe aus Teil 2 der SUNFISH-Studie ([NCT02908685](#)). Roche entwickelte SMAIS-ULM in enger Partnerschaft mit CureSMA, SMA Europe und der SMA Foundation, um das benötigte Level an Unterstützung zur Durchführung alltäglicher Aktivitäten (activities of daily living, ADL) zu messen und um die Erfahrungen von Patienten und Betreuungspersonen besser erfassen zu können.

Die SUNFISH-Studie wurde entworfen, um Risdiplam bei Menschen im Alter von 2-25 Jahren zu untersuchen, die mit SMA Typ 2 leben oder mit SMA Typ 3 und nicht mehr gehfähig sind, wobei Patienten und ihre Betreuungspersonen die SMAIS-ULM-Werte meldeten. Eine post-hoc Analyse der SMAIS-ULM-Daten zeigte, dass ein größerer Anteil der mit Risdiplam behandelten Personen (*Patientenberichte $\geq 12-25$ Jahre 69,8%; Pflegerberichte 2-25 Jahre 66,4%*) wahrscheinlich in der Lage sein könnte, ihre Unabhängigkeit bei der Durchführung alltäglicher Aktivitäten (ADLs) zu erhalten oder an Unabhängigkeit dazuzugewinnen, als diejenigen, die ein Placebo erhielten (*Patientenberichte $\geq 12-25$ Jahre 39,1%; Pflegerberichte 2-25 Jahre 38,3%*). Dieser Befund wurde in allen Altersgruppen beobachtet.²

Fruchtbarkeit und Familienplanung bei SMA

Auf der MDA-Konferenz wurde das Design für eine neue Beobachtungsstudie, MARLIN ([ISRCTN31399857](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03139985)), vorgestellt. Die Studie zielt darauf ab, durch Patienten berichtete, fruchtbarkeitsbezogene Ergebnisse bei erwachsenen Männern mit SMA, die in den USA mit Risdiplam behandelt wurden, zu sammeln.³

Wir möchten der gesamten SMA-Gemeinschaft unseren aufrichtigen Dank für die wertvolle Unterstützung und Teilnahme an klinischen Studien wie den oben genannten aussprechen, die dazu beitragen, das Verständnis von SMA und von Risdiplam in der SMA weiter voranzutreiben. Wie immer stehen wir jederzeit gerne für Fragen rund um diese oder andere Aktivitäten von Roche in der SMA zur Verfügung.

Christina Ankirchner

Christina Ankirchner

Patient Partnership Manager SMA

Sarah Kuld

Head Patient Partnership

Im Namen des gesamten SMA-Teams der Roche Pharma AG

Referenzen

1. Kletz H. et al. Bioequivalence and food effect assessment for a new risdiplam tablet formulation in healthy volunteers. Presented at SMA Europe 4th Scientific International Congress 2024
2. Sully K. et al. Post hoc analysis of the SMA Independence Scale-Upper Limb Module (SMAIS-ULM) in individuals with Type 2 and non-ambulant Type 3 SMA using SUNFISH Part 2 data. Presented at SMA Europe 4th Scientific International Congress 2024
3. Dickendesh T et al. Observational Study of Fertility in Risdiplam-Treated Adult Male Patients With Spinal Muscular Atrophy (SMA). Presented at MDA Clinical and Scientific Conference 2024