

Grenzach-Wyhlen, 18. März 2025

Liebe Mitglieder der SMA-Community in Deutschland

Gemäß Ihrer Anfrage nach wichtigen Updates zum klinischen Entwicklungsprogramm von Risdiplam und SMA freuen wir uns, Neuigkeiten von der Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference 2025 mitzuteilen, die diese Woche in Dallas, Texas, stattfindet.

Die Fünfjahresdaten der SUNFISH-Studie ([NCT02908685](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02908685)) werden von Roche präsentiert und markieren einen weiteren Meilenstein auf dem Weg von Risdiplam. Die Studie ist abgeschlossen und wir teilen Ihnen das endgültige Ergebnis mit unserem herzlichen Dank als Partner beim Erreichen dieses Meilensteins mit.

### **Zusammenfassung der präsentierten Daten**

Zur Erinnerung: Die SUNFISH-Studie beurteilte die Wirksamkeit und Sicherheit von Risdiplam bei Menschen im Alter von 2-25 Jahren mit Typ 2 oder nicht-ambulatem Typ 3 SMA. Im Jahr 2020 erreichte die Studie ihren primären Endpunkt, indem eine Verbesserung der motorischen Funktion ab dem Ausgangswert bei Personen, die Risdiplam erhielten, im Vergleich zu Placebo nachgewiesen wurde. Nach den ersten 12 Monaten hatten alle Teilnehmer die Möglichkeit, an einer offenen Verlängerung teilzunehmen, bei der alle für weitere vier Jahre Risdiplam erhielten, einschließlich derjenigen, die zuvor Placebo erhalten hatten. Insgesamt dauerte die Studie fünf Jahre.

Explorative Ergebnisse der SUNFISH-Studie zeigten eine anhaltende Stabilisierung der motorischen Funktion bei Personen mit Typ 2 und Typ 3 SMA im Alter von 2-25 Jahren bei Studieneinschluss, die bis zu fünf Jahre lang Risdiplam erhielten. Die in unserer [Pressemitteilung](#) geteilten Ergebnisse umfassen Folgendes:

- Der Anstieg der motorischen Funktion nach dem ersten Jahr der Risdiplam-Behandlung blieb nach fünf Jahren gemessen an den Veränderungen im Motor Function Measure 32 (MFM-32) im Allgemeinen stabil.
- Patienten (über 12 Jahre) und Betreuer berichteten über kontinuierliche Verbesserungen oder Stabilisierung des Grads der Unabhängigkeit bei der Durchführung täglicher Aktivitäten wie Anziehen, Aufheben von Gegenständen und Waschen, gemessen an der SMA Independence Scale (SMAIS-ULM).
- Die Gesamtraten unerwünschter Ereignisse (UE) und schwerwiegender unerwünschter Ereignisse (SAE) entsprachen der zugrunde liegenden Erkrankung und waren konsistent mit den bisherigen Daten. Es gab keine behandlungsbedingten UEs, die zum Abbruch der Studie führten.

Wir möchten diese Gelegenheit nutzen, um unseren Dank an alle Patienten, Familien und Betreuer, Gesundheitsfachkräfte und Patientenorganisationen auszudrücken, die einen wesentlichen Teil dieser Studie ausgemacht haben. Wir lernen weiterhin mehr über das Management von SMA und die Rolle von Risdiplam dabei, und es war ein Privileg, dass so viele Menschen teilgenommen, beigetragen und diese Studie möglich gemacht haben.

Wenn Sie Fragen zu den bereitgestellten Informationen haben, zögern Sie bitte nicht, uns zu kontaktieren.

Mit freundlichen Grüßen,

*Susann Peters*

Susann Peters  
Patient Partnership Manager SMA

*M. Schöttler*

Michael Schöttler  
Leitung Neurodegenerative und Seltene  
Erkrankungen & Pipeline

Im Namen des gesamten SMA-Teams der Roche Pharma AG

#### References

1. Servais L, et al. SUNFISH Parts 1 and 2: 5-year efficacy and safety data of risdiplam in Types 2 and 3 spinal muscular atrophy (SMA). Presented at Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical and Scientific Conference, Dallas, TX, USA; March 16–19, 2025