

Chères organisations de patients SMA

En réponse à votre demande, nous sommes heureux de partager avec vous des informations concernant l'essai RESPOND, un nouvel essai que Biogen envisage de lancer.

Nous comprenons en travaillant avec la communauté SMA que, malgré les progrès significatifs réalisés ces dernières années, il existe encore des besoins non satisfaits et des opportunités pour améliorer les soins aux nourrissons et enfants atteints de SMA. Les données disponibles dans l'étude à long terme de Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi) montrent que 4 patients sur 10 sont passés au traitement par nusinersen. , Cela a également été rapporté dans l'expérience du monde réel.

Aperçu de l'essai RESPOND

L'étude RESPOND examinera le bénéfice clinique et l'innocuité du nusinersen chez les nourrissons et les enfants atteints d'amyotrophie spinale (SMA) qui ont encore des besoins cliniques non satisfaits après un traitement par thérapie génique (onasemnogene abeparvovec-xioi). L'étude devrait recruter 60 enfants jusqu'à l'âge de 3 ans qui sont déterminés par l'investigateur comme présentant un potentiel d'amélioration clinique supplémentaire après avoir reçu la thérapie génique (onasemnogene abeparvovec-xioi).

Le groupe d'étude principal vise à inclure 40 nourrissons âgés de 9 mois ou moins (au moment de la première dose de nusinersen) qui ont deux copies de SMN2 (susceptibles de développer une SMA de type 1) et ont reçu une thérapie génique (onasemnogène abeparvovec-xioi) avant leur 6 mois. Un deuxième groupe d'étude comprendra 20 enfants et générera des données chez des patients d'une tranche d'âge plus large (jusqu'à 3 ans au moment de la première dose de SPINRAZA (nusinersen)). Après une période de dépistage, les participants recevront la dose approuvée de 12 mg de nusinersen, soit quatre doses de charge suivies de doses d'entretien tous les quatre mois, au cours de la période d'étude de deux ans.

RESPOND est une étude ouverte de phase 4, de sorte que le soignant du patient et son médecin savent qu'ils sont traités par nusinersen.

Évaluation de l'efficacité

Les personnes atteintes de SMA ne produisent pas suffisamment de protéines de neurones moteurs de survie (SMN), ce qui est essentiel pour le maintien des motoneurons qui soutiennent la position assise, la marche et les fonctions de base de la vie, y compris la respiration et la déglutition. L'étude RESPOND cherchera à comprendre si l'efficacité prouvée du nusinersen et sa production de protéine SMN peuvent également bénéficier aux patients préalablement traités par thérapie génique.

L'efficacité du traitement sera évaluée en mesurant la fonction motrice, les résultats cliniques supplémentaires centrés sur le patient (par exemple la déglutition) et la charge du soignant. Nous mesurerons également les niveaux de neurofilament en tant que marqueur potentiel de l'activité de la maladie (un critère d'évaluation exploratoire).

Timing

La société prévoit de soumettre le protocole de l'étude aux autorités de régulation dans les prochains mois et vise à ce que les premiers patients éligibles soient enrôlés dans l'étude RESPOND au premier trimestre 2021.

Travailler en partenariat

Nous reconnaissons qu'il y a encore des besoins de traitement non satisfaits pour les personnes atteintes de SMA et sommes reconnaissants à toutes les familles, soignants et enquêteurs qui continuent de nous aider à améliorer les soins aux patients. La communauté SMA a contribué à façonner la conception de cette étude et à garantir que les mesures des résultats cliniques utilisées sont celles qui comptent le plus pour les patients et leurs soignants. L'étude RESPOND aidera à collecter des données supplémentaires et à éclairer les décisions de traitement pour les nourrissons et les enfants atteints de SMA.

En tant qu'équipe, nous restons un partenaire dévoué et engagé de cette communauté et continuerons d'être disponibles pour fournir des mises à jour à l'avenir, sur demande.

Meilleures salutations,

L'équipe Biogen SMA