

Sehr geehrte Mitglieder der Duchenne-Community,

leider müssen wir Ihnen mitteilen, dass das klinische Entwicklungsprogramm zu RG6206 (RO7239361), einem Anti-Myostatin-Adnectin-Protein, zur Behandlung von gehfähigen Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eingestellt wird.

Dies betrifft beide RG6206-Studien: die offene Verlängerungsstudie (open label extension Studie) der Phase Ib/II-THUNDERJET-Studie zur Bewertung der Sicherheit und Verträglichkeit von RG6206 bei gehfähigen Jungen mit DMD, als auch die Phase II/III SPITFIRE-Studie, in der die Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von RG6206 bei gehfähigen Jungen mit DMD untersucht wurde.

Unsere Entscheidung zur Beendigung dieses Programms wurde auf der Grundlage der Ergebnisse einer vorab geplanten Zwischenanalyse der Phase II/III-SPITFIRE-Studie getroffen, da es unwahrscheinlich erschien, dass der primäre Studienendpunkt (Änderung vom Ausgangswert im North Star Ambulatory Assessment (NSAA) Gesamtscore versus Placebo) und der hiermit verbundene erwartete klinische Nutzen hätte noch erreicht werden können. Bei dem NSAA, der verwendet wurde um die Behandlungseffekte von RG6206 in der Phase II/III-SPITFIRE-Studie zu bewerten, handelt es sich um eine Bewertungsskala mit 17 Fragen zur Beurteilung der motorischen Fähigkeiten von gehfähigen Kindern mit DMD. Bei dieser Zwischenanalyse wurden keine Sicherheitssignale beobachtet und das allgemeine Sicherheitsprofil entsprach den bisherigen Analysen.

Wir haben bereits alle Studienzentren benachrichtigt, und die Studienleiter informieren derzeit alle Studienteilnehmer und deren Familien. Da es sich bei SPITFIRE um eine globale Studie mit Studienzentren in mehreren Ländern handelt, die sich über mehrere Zeitzonen erstrecken, wird dies einige Zeit in Anspruch nehmen. Daher müssen wir leider davon ausgehen, dass die Mitglieder der Duchenne-Community von der Beendigung des Studienprogramms möglicherweise zu unterschiedlichen Zeiten und auf unterschiedlichem Weg erfahren werden.

Wir sind uns bewusst, dass diese Nachricht die Duchenne-Community zutiefst enttäuscht, insbesondere angesichts der historischen Herausforderungen bei der Entwicklung von DMD-Medikamenten und des anhaltenden Bedarfs an neuen Möglichkeiten zur Behandlung dieser schweren und lebensbedrohlichen Krankheit. Obgleich uns der Wirkmechanismus und die umfangreiche Forschung die Hoffnung gegeben haben, dass RG6206 eine wirksame Behandlungsoption für Menschen, die mit DMD leben, werden könnte, lassen die aktuellen Ergebnisse der SPITFIRE-Studie diesen Schluss leider nicht zu.

Wir danken der Duchenne-Community für die Unterstützung unserer Bemühungen zur Entwicklung von RG6206 und sind insbesondere den DMD-Patienten und ihren Familien dankbar, die an unseren klinischen Studien zu RG6206 teilgenommen haben. Von Herzen danken wir Ihnen für Ihre Zeit, Ihre Kooperation und Ihr unermüdliches Engagement für die Forschung.

Die Daten der Zwischenanalyse der Phase II/III-SPITFIRE-Studie werden auf kommenden Kongressen vorgestellt. Zudem werden zusätzliche Daten zu RG6206 in den kommenden Monaten der Wissenschaft und den Patienten-Communities zur Verfügung gestellt, um einen Beitrag zu den umfassenden Anstrengungen für die Entwicklung neuer Behandlungsoptionen für Menschen mit DMD zu leisten. Roche und Genentech werden ihre Zusammenarbeit mit der globalen Duchenne-Community bei laufenden Projekten fortsetzen, darunter das psychosoziale Programm der World Duchenne Organization als auch ihre Initiative zum Austausch von Daten. Wir werden unsere Daten für RG6206 auch mit anderen Konsortien teilen, zum Beispiel mit der Vereinigung Trajectory Analysis

Project (cTAP). Wir bedauern sehr, dass wir die Entscheidung zur Beendigung des Entwicklungsprogramms von RG6206 bekannt geben müssen, und wir teilen die Enttäuschung der Duchenne-Community.

- Für weitere Informationen oder Fragen zur Studie oder zu den Studienzentren können Sie uns über medinfo.roche.com kontaktieren.

Mit freundlichen Grüßen,

Carlos Mayer
Pipeline Strategy Manager
Roche Pharma (Schweiz) AG

Tanja Weinand
Patient Care Managerin
Roche Pharma (Schweiz) AG