

ملخص النتائج النهائية من تجربة
FIREFISH، وهي تجربة
سريرية تثبت فعالية وأمان
ريسديلام حين الاستعمال مع
الأطفال المصابين بالنوع 1 من
ضمور العضلات الشوكي (SMA)



انظر نهاية الوثيقة للاطلاع على العنوان الكامل للدراسة



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

حول هذا الملخص

هذا ملخص لنتائج تجربة سريرية (يُطلق عليها "دراسة" في هذه الوثيقة). ولقد كُتبت لعامة الناس وللأشخاص الذين شاركوا في الدراسة. بدأت دراسة **FIREFISH** (NCT02913482) في ديسمبر 2016 وانتهت في ديسمبر 2023. كُتبت هذا الملخص بعد انتهاء الدراسة. كان العقار الذي يخضع للدراسة هو ريسديبيلام. حققت دراسة **FIREFISH** أهدافها (نقاط النهاية) في نوفمبر 2019 عندما أكمل آخر مشارك في الدراسة عامً واحدًا من العلاج باستخدام ريسديبيلام. تقدم هذه الوثيقة ملخصًا للنتائج النهائية من دراسة **FIREFISH** بعد انتهاء الدراسة.

يتضمّن هذا الملخص المعلومات التالية:

معلومات عامة حول الدراسة

من يمكنه المشاركة في الدراسة؟

ماذا حدث أثناء الدراسة؟

ماذا كانت نتائج هذه الدراسة؟

ماذا كانت الآثار الجانبية؟

ماذا تعلمنا من الدراسة؟

أين يمكنني العثور على مزيد من المعلومات؟

قدّمت الوثائق السابقة ملخصًا لنتائج دراسة **FIREFISH** بعد أن أكمل الأطفال عامًا واحدًا وعامين من العلاج باستخدام ريسديبيلام.

يرجى النقر [هنا](#) للاطلاع على ملخص العام الواحد.

يرجى النقر [هنا](#) للاطلاع على ملخص العامين





أين يمكننا العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما هو ضمور العضلات الشوكي؟

ضمور العضلات الشوكي (SMA) عبارة عن اضطراب عصبي وراثي نادر، يدمر الخلايا العصبية التي تتحكم بالعضلات، وتسمى الخلايا العصبية الحركية.



يُدمر SMA الخلايا العصبية التي تتحكم في العضلات في
النخاع الشوكي والتي تسمى الخلايا العصبية الحركية.



يسبب فقدان الخلايا العصبية الحركية ضعف العضلات
وفقدان الحركة بسبب الهزال (الضمور) العضلي.



يعاني الأشخاص المصابون بـ SMA من صعوبة في القيام بوظائف الحياة الأساسية، بما في ذلك التنفس والبلع.

تختلف شدة SMA بين المرضى وتعتمد على مجموعة من العوامل، بما في ذلك العمر الذي يبدأ فيه ظهور الأعراض. هناك خمسة أنواع من ضمور العضلات الشوكي، بناءً على العمر الذي يبدأ فيه ظهور الأعراض وأعلى معلم جسدي يتم الوصول إليه (مثل القدرة على الجلوس أو المشي).

أنواع SMA

النوع	العمر الذي يبدأ فيه ظهور الأعراض	التأثيرات على العضلات والقدرة الحركية
0	قبل الولادة	لا يتحرك الأطفال بنشاط في الرحم، ويولدون مصابين بضعف عضلي شديد
1	الولادة إلى 6 أشهر	لن يكون الأطفال قادرين على الجلوس بشكل مستقل أبدًا
2	من 6 إلى 18 شهرًا	يكون الأطفال قادرين على الجلوس عادة، وقد يقف البعض بمساعدة، ولكنهم لا يكونوا قادرين على المشي
3	18 شهرًا فصاعدًا	يتمكّن الأطفال من المشي، ولكنهم قد يفقدون هذه القدرة مع مرور الوقت
4	18 شهرًا فصاعدًا	يظهر هذا النوع من SMA في مرحلة البلوغ. وهو أقل أنواع SMA حدة.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

لماذا أُجريت هذه الدراسة؟

عندما بدأت هذه الدراسة، لم تكن هناك علاجات متاحة للأشخاص المصابين بـ SMA.

أهداف العلاجات الجديدة هي معالجة السبب الكامن وراء SMA، ومساعدة الأشخاص المصابين بـ SMA على العيش لفترة أطول، وتقليل الأعراض العامة، والحفاظ على قدرة الشخص على الحركة (الوظيفة الحركية)، وتحسين جودة الحياة.

أجريت دراسة FIREFISH لفهم أمان وفعالية (مدى نجاح العلاج) ريسديبلام لدى الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA، والذين تتراوح أعمارهم بين 1 و 7 أشهر عند انضمامهم للدراسة.





أين يمكننا العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

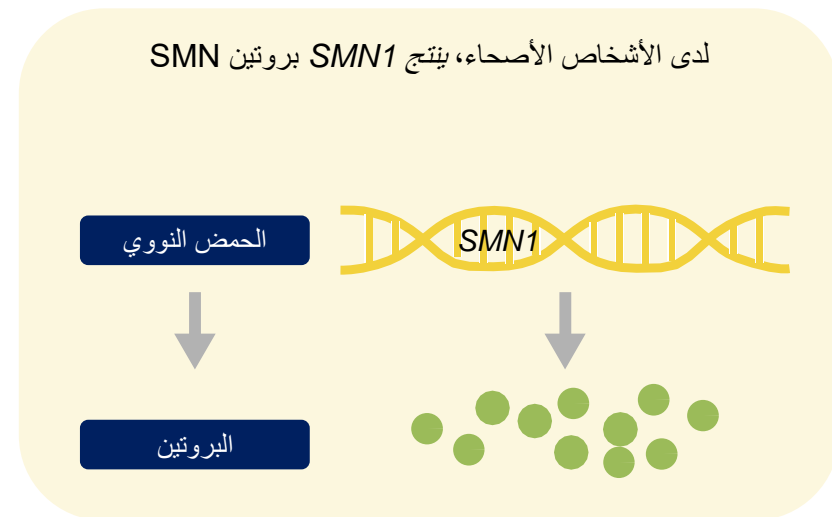
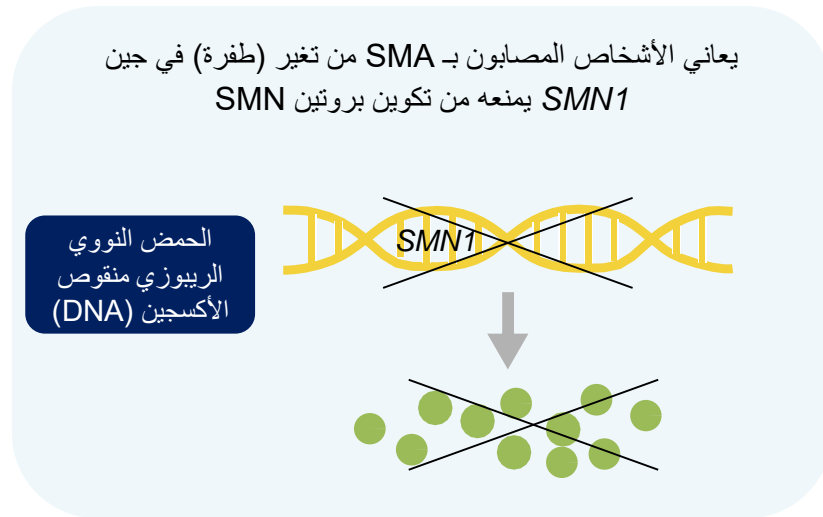
معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي يسبب ضمور العضلات الشوكي؟ (2/1)

يحدث SMA نتيجة لانخفاض مستويات بروتين يسمى "بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية" (يعرف أيضًا بـ SMN).

يُعدّ بروتين SMN ضروريًا لوظيفة الأعصاب التي تتحكم في العضلات. في ظل غياب المستويات العالية بالدرجة الكافية من بروتين SMN، تتوقف هذه الأعصاب عن العمل بصورة سليمة (تتدهور) وتموت في النهاية، مما يتسبب في ضعف العضلات وضمورها.

يُصنع بروتين SMN في الغالب من قبل جين يسمى "بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية 1" (يعرف أيضًا بـ SMN1).



بروتين SMN العامل





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

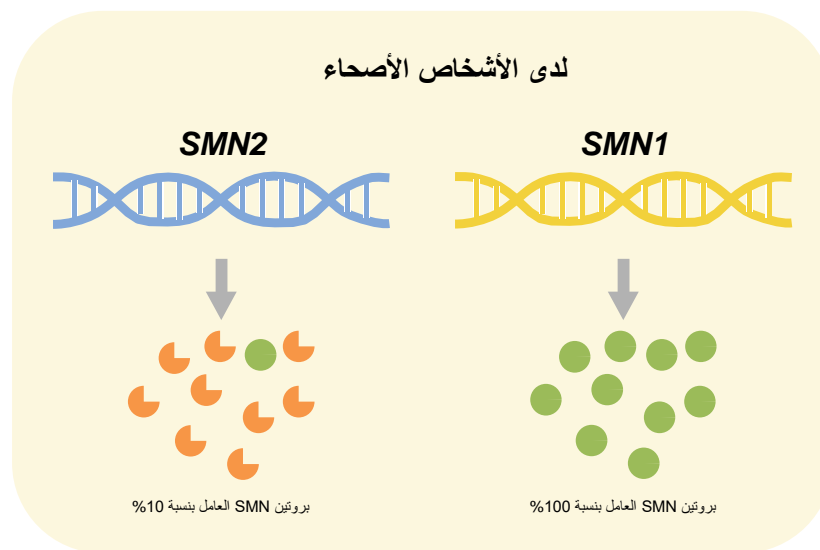
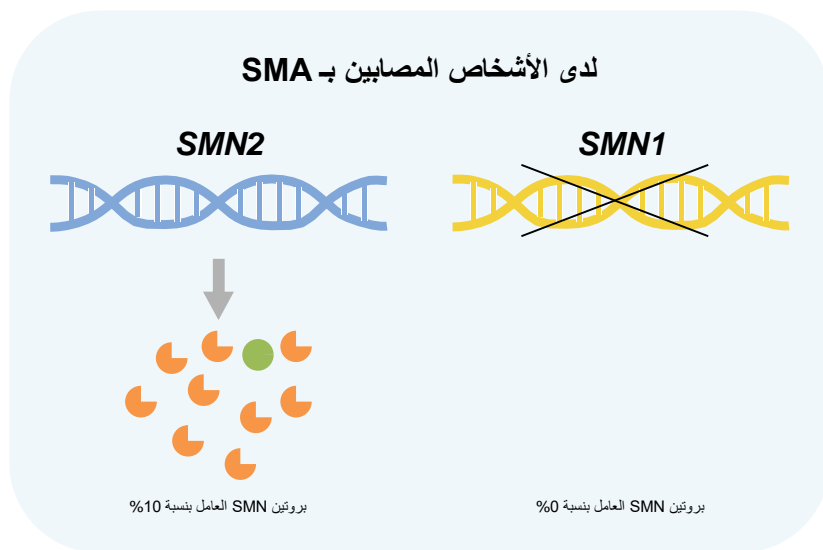
معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي يسبب SMA؟ (2/2)

لدى البشر جين مشابه يسمى بروتين بقاء الخلايا العصبية الحركية 2 (يُطلق عليه أيضًا *SMN2*) والذي يمكن أن يعمل كجين "احتياطي" لصنع بروتين *SMN*. يحتاج الأشخاص المصابون بـ *SMA* إلى استخدام بروتين *SMN2* لصنع بروتين *SMN* لأنه لا يوجد لديهم جين *SMN1*.

ومع ذلك، فإن 1 فقط من كل 10 (10%) من بروتين *SMN* الذي ينتجه *SMN2* يعمل بصورة سليمة. وهذه كمية بروتين غير كافية للتعويض عن فقدان جين *SMN1*.

كلما زادت نسخ جين *SMN2* لدى الشخص، زاد بروتين *SMN* الذي يمكنه إنتاجه، مما يقلل من حدة أعراض *SMA*.



بروتين *SMN* غير العامل

بروتين *SMN* العامل





أين يمكننا العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

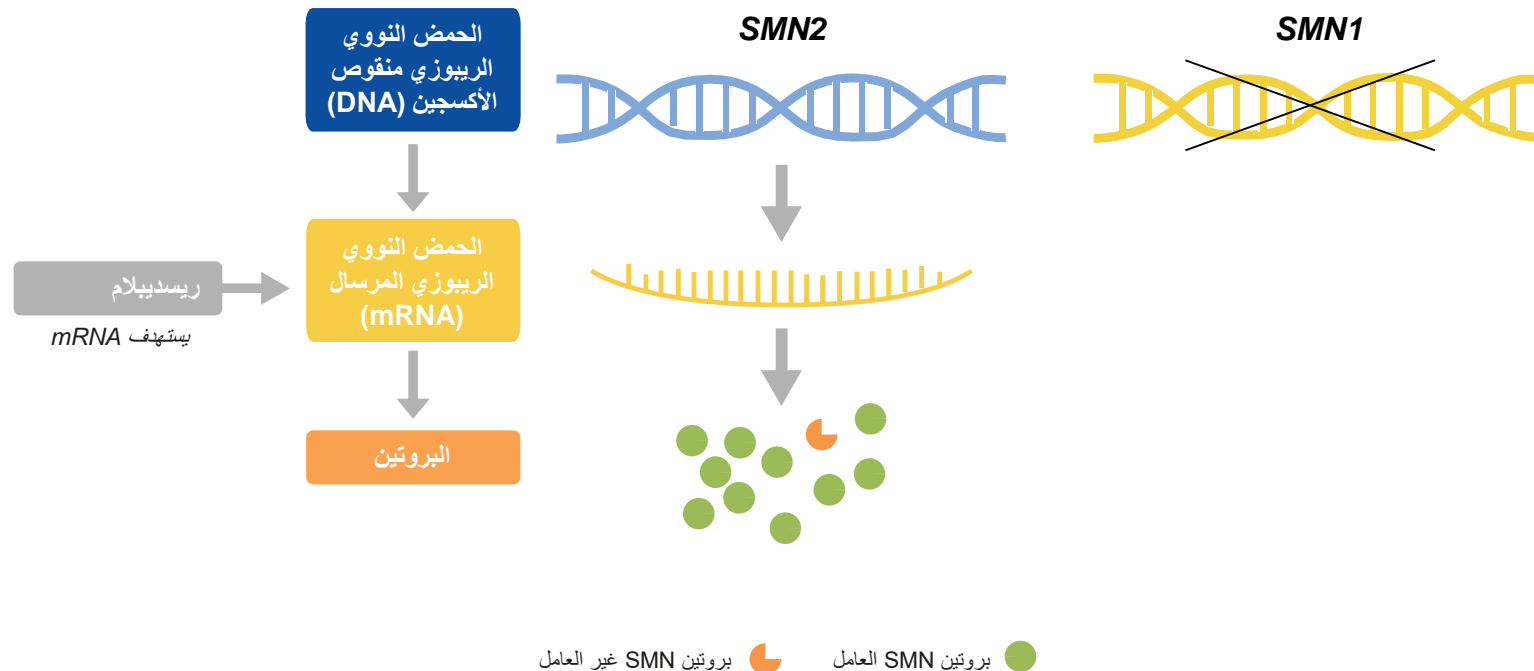
ما هو ريسديبيلام وكيف يعمل؟

ريسديبيلام هو العقار الذي خضع للدراسة في دراسة **FIREFISH**.

ريسديبيلام عبارة عن سائل يؤخذ مرة واحدة في اليوم عن طريق الفم أو عن طريق أنبوب التغذية لأولئك الذين لديهم صعوبة في البلع.

تم تصميم ريسديبيلام لمساعدة جين **SMN2** على إنتاج المزيد من بروتين **SMN** العامل للحفاظ على وظيفة العضلات وتحسينها.

إن التعليمات الواردة من جين **SMN2** خاطئة، ومعظم بروتين **SMN** الذي أنتج لا يعمل. يستهدف ريسديبيلام التعليمات (mRNA) الواردة من جين **SMN2** لصنع المزيد من بروتين **SMN** العامل.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي أراد الباحثون معرفته؟

تهدف دراسة **FIREFISH** إلى الإجابة على الأسئلة البحثية التي تدور حول ريسديبيلام.

لفهم آثار ريسديبيلام، تضمّنت الدراسة عدة مقاييس للنتائج (نقاط النهاية).

نقاط النهاية هي المقاييس المحددة التي يستخدمها الباحثون لتقييم آثار علاج الدراسة.

- **تستخدم نقاط النهاية الأولية** للإجابة على السؤال البحثي الرئيسي للدراسة. تعد الدراسة ناجحة إذا حدثت هذه النتائج أو الأحداث في نقطة معينة في الدراسة (يتم تحقيق نقطة النهاية الأولية).
- **توفر نقاط النهاية الثانوية والاستكشافية معلومات إضافية** لمساعدة الباحثين على فهم آثار العلاج الذي خضع للدراسة.

تم تقسيم دراسة **FIREFISH** إلى جزأين.



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي أراد الباحثون اكتشافه في الجزء الأول من دراسة FIREFISH؟

ما السؤال الرئيسي (نقطة النهاية الأولية) الذي أراد الباحثون معرفة إجابته في الجزء الأول من دراسة FIREFISH؟

الجرعة الموصى بها من ريسديلام لعلاج الأطفال الذين تتراوح أعمارهم بين شهر و 7 أشهر المصابين بالنوع 1 من SMA
لُتستخدم في الجزء 2 من دراسة FIREFISH .

- لقياس ذلك، نظر الباحثون في مستويات ريسديلام في الدم لدى الأطفال الرضع في الدراسة وقاموا بقياس كمية بروتين SMN لديهم.
- كان يجب أن تكون الجرعة المختارة آمنة وأن تؤدي إلى زيادة حقيقية في مستويات بروتين SMN.



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي أراد الباحثون اكتشافه في الجزء 2 من دراسة FIREFISH؟

- جرعة ريسديبيلام المختارة في الجزء 1 من دراسة FIREFISH أعطيت لجميع الأطفال في الجزء 2.
- ما السؤال الرئيسي (نقطة النهاية الأولية) الذي أراد الباحثون معرفة إجابته في الجزء 2 من دراسة FIREFISH؟

تمثلت نقطة النهاية الأولية في الجزء الثاني من دراسة FIREFISH في استقصاء فعالية ريسديبيلام (مدى نجاح ريسديبيلام).

- تم تقييم ذلك عن طريق قياس النسبة المئوية للأطفال الذين يمكنهم الجلوس دون دعم لمدة 5 ثوان على الأقل، بعد عام واحد من العلاج باستخدام ريسديبيلام.
- تم اختيار نقطة النهاية هذه لأن الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA والذين لا يتلقون العلاج لا يستطيعون عادة الجلوس دون دعم



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الذي أراد الباحثون اكتشافه خلال دراسة FIREFISH التي استمرت لمدة 5 سنوات؟

- بعد الوصول إلى **نقاط النهاية الرئيسية** في الجزأين 1 و2 من دراسة FIREFISH، يمكن لجميع الأطفال الاستمرار في الدراسة لمدة تصل إلى 5 سنوات.
- ما الأسئلة المهمة الأخرى (نقاط النهاية الثانوية والاستكشافية) التي أراد الباحثون معرفة إجاباتها في دراسة FIREFISH على مدار فترة الخمس سنوات بأكملها؟

استقصت نقاط النهاية الثانوية والاستكشافية عن عدد الأطفال:

- الذي كانوا على قيد الحياة
- القادرين على تناول الطعام عن طريق الفم
- الذين يحققون إنجازات حركية
- يتعرضون لآثار جانبية



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

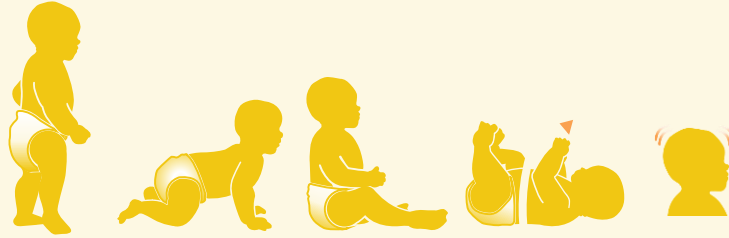
من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كيف قاس الباحثون القدرة البدنية للأطفال في دراسة FIREFISH؟

تشير القدرة البدنية إلى مدى قدرة الطفل على استخدام أجزاء مختلفة من جسمه لتحقيق إنجازات رئيسية مثل الجلوس والوقوف والمشي. وفي دراسة FIREFISH، استُخدمت اختبارات (نتائج) مختلفة لتقييم الأطفال الذين يتلقون ريسديلام.

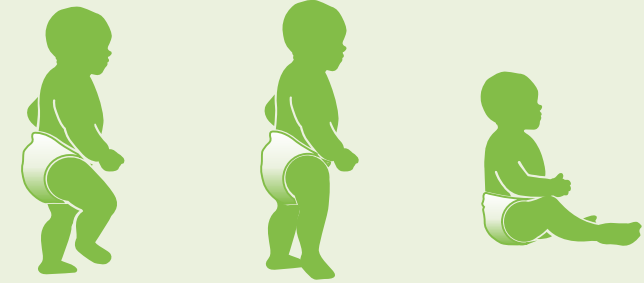
فحص هامرسميث العصبي للرضع، الوحدة 2 (HINE-2)



يقيس فحص HINE-2 ما إذا كان الأطفال تظهر لديهم معالم معينة مثل رفع رؤوسهم، والجلوس، والتدحرج، والوقوف، والمشي.

لماذا يُجرى هذا الاختبار؟ يقيّم هذا الاختبار ما إذا كان الطفل تظهر لديه معالم حركية مناسبة لسنّه .

مقاييس ببلي لنمو الرضع والأطفال الصغار، الإصدار الثالث (BSID-III)



يقيس BSID-III مدى قدرة الأطفال على أداء مجموعة متنوعة من الأنشطة (مثل الجلوس والوقوف والمشي) مقارنة بالأطفال الآخرين من نفس العمر.

لماذا يُجرى هذا الاختبار؟ يُعدّ وسيلة لتشخيص تأخر النمو لدى الأطفال الذين تتراوح أعمارهم بين شهر 42- شهرًا.

لمزيد من المعلومات حول مقاييس الحركة هذه، يرجى الاطلاع على الكتيب "فهم MFM و SMAIS في سياق قياسات النتائج لمرض SMA".

BSID-III، مقاييس ببلي لنمو الرضع والأطفال الصغار، الإصدار الثالث؛ HINE-2، فحص هامرسميث العصبي للرضع، الوحدة 2؛ SMA، ضمور العضلات الشوكي.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

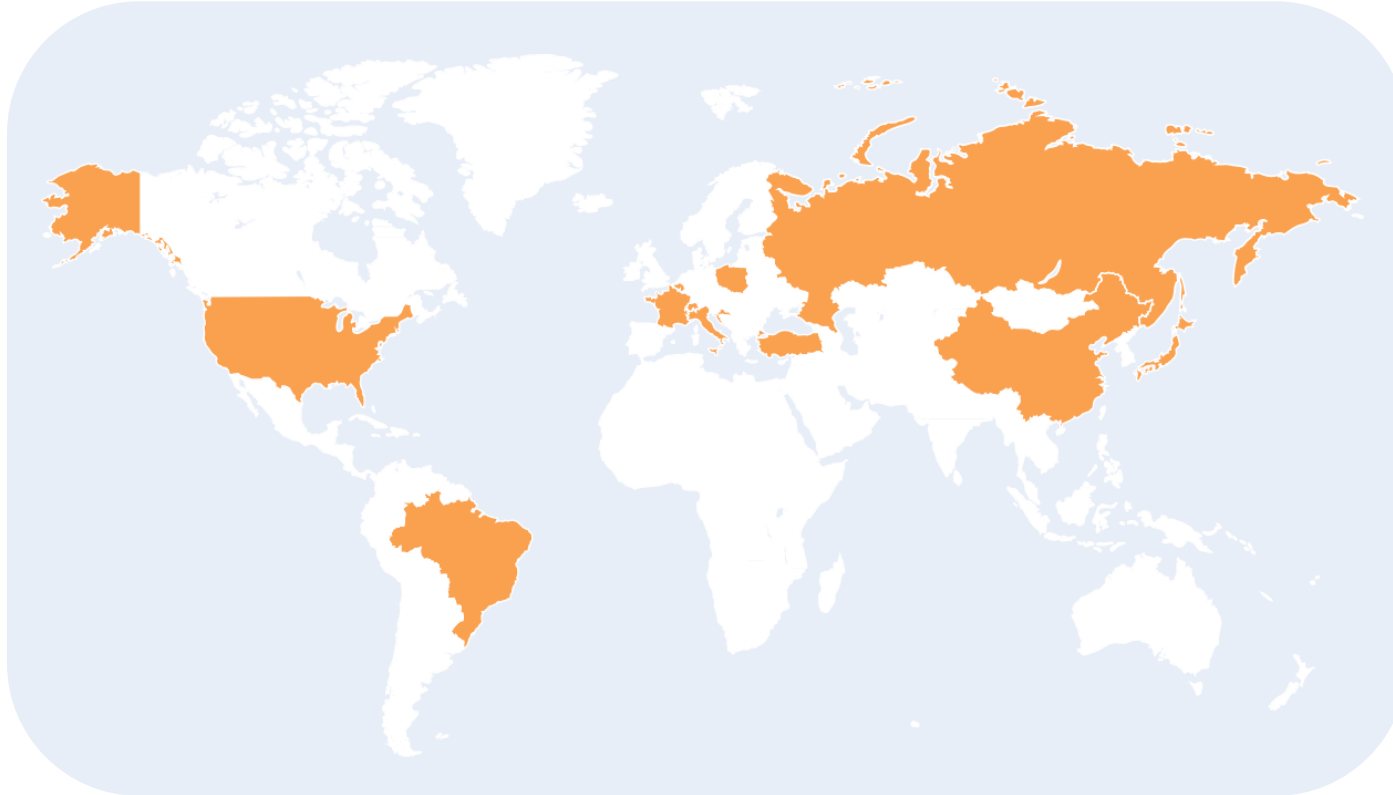
معلومات عامة
حول الدراسة

متى وأين أجريت هذه الدراسة؟

بدأت الدراسة **FIREFISH** في ديسمبر 2016 وانتهت في ديسمبر 2023، عندما أكمل جميع الأطفال المشاركين ما يصل إلى 5 سنوات من العلاج باستخدام ريسديلام. كُتب هذا الملخص بعد انتهاء الدراسة.

كانت دراسة **FIREFISH** دراسة عالمية أجريت في 17 مستشفى في 12 دولة. توضح الخريطة أدناه المكان الذي أجريت فيه الدراسة.

البلدان التي أجريت فيها دراسة FIREFISH هي:



• بلجيكا

• البرازيل

• الصين

• كرواتيا

• فرنسا

• إيطاليا

• اليابان

• بولندا

• روسيا

• سويسرا

• تركيا

• الولايات المتحدة الأمريكية

Roche



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

من الذي تمكن من المشاركة في الدراسة؟

تضمنت الدراسة **FIREFISH** الأطفال الذين تتراوح أعمارهم بين شهر و 7 أشهر في الوقت الذي سجلوا فيه في الدراسة (انضموا إلى الدراسة). تم تشخيص كل منهم بالإصابة بـ SMA.

كانت العوامل التالية هي المتطلبات الرئيسية للأطفال اللازمة للمشاركة في الدراسة:

معايير الإدراج الرئيسية	معايير الاستبعاد الرئيسية
<p>كان الأطفال يمكنهم المشاركة في الدراسة إذا:</p> <ul style="list-style-type: none">• ظهرت لديهم أعراض SMA بين سن 1 إلى 3 أشهر• أجري اختبار أكد الإصابة بـ SMA (تشخيص جيني)• كان لديه نسختان من جين <i>SMN2</i>• كان قد تعافى من أي مرض قصير الأمد في وقت الفرز في الدراسة وتم اعتباره أنه تعافى بشكل يمكنه من المشاركة	<p>لم يكن من الممكن للأطفال المشاركة في الدراسة إذا:</p> <ul style="list-style-type: none">• كان قد شارك في تجربة سريرية أخرى خلال الأشهر الثلاثة الماضية• كان قد تلقى سابقاً علاجاً لـ SMA باستخدام عقار أو علاجاً بالجينات أو الخلايا• كان بحاجة إلى دعم طبي كبير للتنفس لأكثر من 16 ساعة في اليوم• كان قد عانى من أي حالات طوارئ حديثة تطلبت المبيت في المستشفى أو مرضاً كبيراً لم يتعاف منه بالكامل

ويمكن الاطلاع على التفاصيل الكاملة لمعايير الإدراج/الاستبعاد على الموقع: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كيف صُممت دراسة FIREFISH؟

دراسة FIREFISH كانت دراسة 'مفتوحة التسمية':

- تعني عبارة "مفتوحة التسمية" أن جميع المشاركين في الدراسة، بما في ذلك الأطفال المشاركون وعائلاتهم وأطباء الدراسة، كانوا يعرفون العلاج الذي تلقاه المشارك.
- تلقى جميع المشاركين في الدراسة ريسديبلام.
- تلقى المشاركون ريسديبلام لمدة عامين في الجزء الرئيسي من الدراسة.
- بعد انتهاء الجزء الرئيسي من الدراسة، كان يمكن للمشاركين اختيار الاستمرار في تلقي ريسديبلام لمدة 3 سنوات إضافية (تسمى فترة التمديد مفتوحة التسمية).

تم تصميم FIREFISH لتتقسّم إلى جزأين:

- اختبر الجزء 1 جرعات مختلفة من ريسديبلام للوصول إلى أفضل جرعة يمكن إعطاؤها للأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA.
- كان الجزء 2 يقيس فعالية (مدى نجاح العلاج) وسلامة ريسديبلام لدى الأطفال المصابين بالمصابين بالنوع 1 من SMA. الأطفال الذين تلقوا ريسديبلام في الجزء 2 تم إعطاؤهم الجرعة المحددة في الجزء 1.

يتضمن الجزآن 1 و 2 أطفالاً مختلفين - لم يشارك في الجزء 2 الأطفال الذين شاركوا في الجزء 1.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

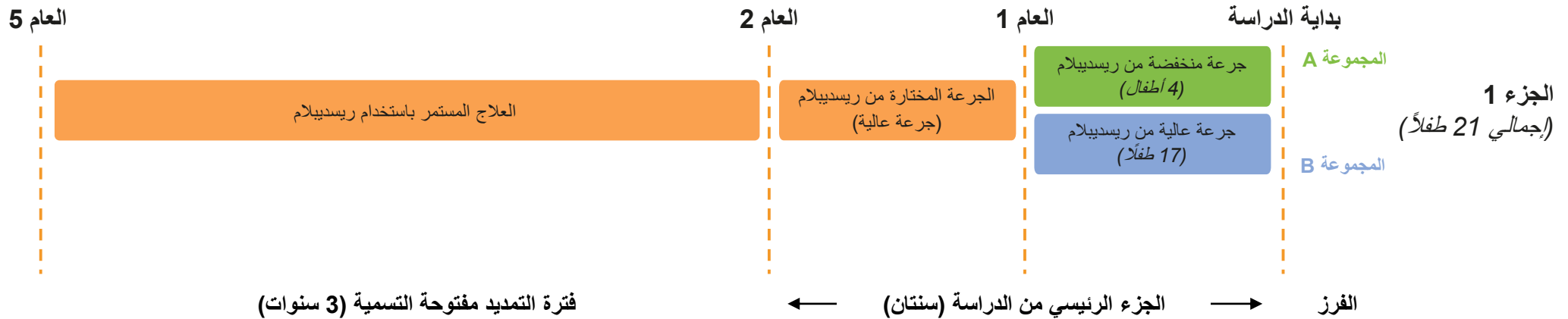
ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ماذا حدث خلال الجزء 1 من دراسة FIREFISH؟

- كان الجزء الأول من دراسة FIREFISH يهدف إلى العثور على أفضل جرعة من ريسديبيلام للأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA. وكانت هذه الجرعة ستستخدم لبقية الدراسة. تم تقسيم المشاركين إلى مجموعتين وإعطائهم جرعات مختلفة من ريسديبيلام.
- أعطيت المجموعة أ (إجمالي 4 أطفال) جرعة منخفضة من ريسديبيلام (
 - أعطيت المجموعة ب (إجمالي 17 طفلاً) جرعة أعلى من ريسديبيلام



استُخدمت الجرعة المختارة في الجزء 1 من دراسة FIREFISH في الجزء 2 وفي فترة التمديد مفتوحة التسمية.

انتقل الأطفال الأربعة الذين تلقوا جرعة منخفضة من ريسديبيلام إلى الجرعة العالية بعد عام واحد وتمكّنوا من الاستمرار في الدراسة لمدة تصل إلى 5 سنوات





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

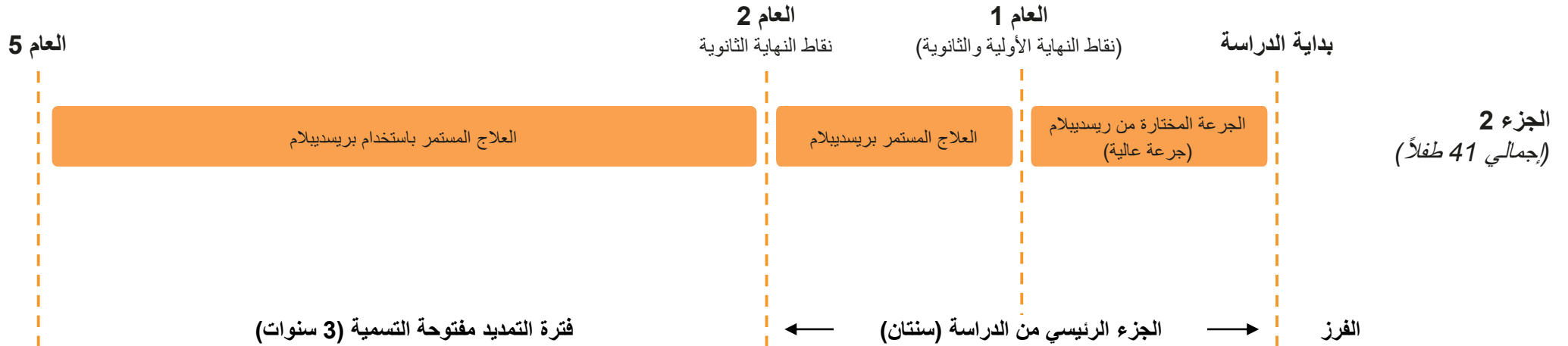
ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ماذا حدث خلال الجزء 2 من دراسة FIREFISH؟

- كان الجزء 2 من دراسة FIREFISH يهدف إلى معرفة مدى فعالية ريسديبيلام في علاج الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA.
- جرعة ريسديبيلام المختارة في الجزء 1 (الجرعة الأعلى) أعطيت لجميع الأطفال في الجزء 2.



يتضمن الجزآن 1 و 2 أطفالاً مختلفين - لم يشارك في الجزء 2 الأطفال الذين شاركوا في الجزء 1.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

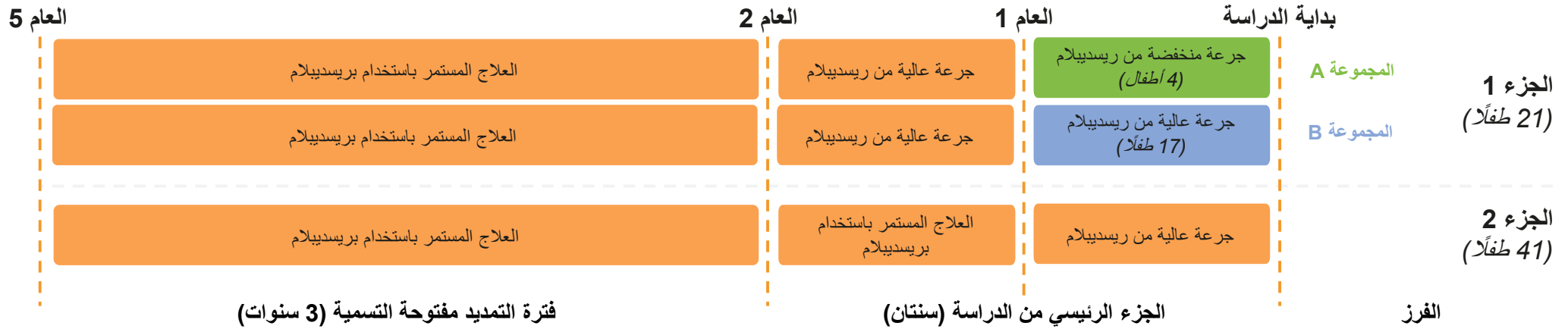
ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ماذا حدث طوال الـ 5 سنوات من دراسة FIREFISH؟

بعدما أكمل الأطفال في الجزء 1 والجزء 2 من دراسة FIREFISH عامين من العلاج باستخدام ريسديبيلام، دخلوا فترة التمديد مفتوحة التسمية. خلال هذا الجزء من الدراسة، تلقى جميع الأطفال العلاج باستخدام ريسديبيلام بجرعة أعلى لمدة 3 سنوات أخرى.



- يمكن تجميع الأطفال الذين حصلوا على الجرعة الأعلى منذ بداية الجزء 1 من دراسة (FIREFISH و المجموعة ب، وجميع الأطفال في الجزء 2 من دراسة FIREFISH) في مجموعة أكبر يُطلق عليها ' **الفئة المجمعّة** '.
- إن النظر إلى النتائج المستخلصة من الفئة المجمعّة ذات العدد الأكبر يوفر دليلاً أقوى مقارنة بتقييم كل مجموعة بمفردها. وهذا يعني أن الباحثين يمكنهم أن يكونوا أكثر ثقة في الاستنتاجات التي يتوصلون إليها بخصوص العلاج باستخدام ريسديبيلام.

سُيبلغ عن جميع نتائج الـ 5 سنوات الخاصة بدراسة FIREFISH التي تخص الفئة المجمعّة.



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما مواصفات الأطفال الذين يشاركون في الجزء 1 والجزء 2 من دراسة FIREFISH قبل بدء العلاج؟

سجل الجزء الثاني 41 طفلاً

%54

(22 من أصل 41 طفلاً)
كُنَّ من الإناث



%46

(19 من أصل 41 طفلاً)
كانوا من الذكور



كان متوسط العمر عند
التسجيل 5.2 أشهر

5

كان متوسط العمر الذي بدأ فيه
ظهور الأعراض 1.6 أشهر



سجل الجزء الأول 21 طفلاً

%71

(15 من أصل 21 طفلاً)
كُنَّ من الإناث



%29

(6 من أصل 21 طفلاً)
كانوا من الذكور



كان متوسط العمر عند
التسجيل 5.8 أشهر

6

كان متوسط العمر الذي بدأ فيه
ظهور الأعراض 1.9 أشهر





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما النتائج الرئيسية التي أسفر عنها الجزء الأول من دراسة FIREFISH؟

كان السؤال البحثي الرئيسي (نقطة النهاية الأولية) في الجزء 1 من دراسة FIREFISH هو تحديد الجرعة الموصى بها من ريسديبيلام لعلاج الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA.

- تم اختيار الجرعة العالية من ريسديبيلام للاستخدام في الجزء 2، لأنها زادت من مستوى بروتين SMN دون التسبب في حدوث آثار جانبية خطيرة.
- بعد اختيار الجرعة للجزء 2، انتقل جميع المشاركين في الجزء 1 من FIREFISH لتلقي نفس جرعة ريسديبيلام حتى وقت انتهاء الدراسة.



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المساعدة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما النتائج الرئيسية التي أسفر عنها الجزء الثاني من دراسة FIREFISH؟

تمثل الهدف الرئيسي (نقطة النهاية الأولية) في الجزء 2 من دراسة FIREFISH في استقصاء فعالية ريسديبيلام (مدى نجاح ريسديبيلام).

تم اختيار القدرة على الجلوس باعتبارها أفضل طريقة لقياس هذا الأمر، لأن الأطفال الذين لم يتلقوا العلاج الذين يعانون النوع 1 من SMA عادة لا يظهر لديهم هذا المعلم المتمثل في الجلوس.

نظر الباحثون في النتائج بمجرد إكمال جميع الأطفال المشاركين في الجزء 2 من دراسة FIREFISH، عامًا واحدًا من العلاج.

بعد عام، سأتخدم الباحثون مقياس BSID-III لتقييم ما إذا كان الأطفال يمكنهم
الجلوس دون دعم لمدة 5 ثوان على الأقل

%29

(12 من أصل 41 طفل)

يمكنهم الجلوس دون دعم لمدة 5 ثوان على الأقل.



تقدم وثيقة سابقة ملخصًا لنتائج دراسة FIREFISH بعد إكمال الأطفال عامًا واحدًا من العلاج باستخدام ريسديبيلام. يرجى النقر [هنا](#) للاطلاع على ملخص العام الواحد.

لمزيد من المعلومات حول BSID-III، يرجى الاطلاع على كتيب "فهم MFم و SMAIS في سياق قياسات النتائج لمرض SMA".





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

عُولج الأطفال في الجزء 1 والجزء 2 من دراسة **FIREFISH** بجرعة ريسديبيلام المختارة لمدة تصل إلى 5 سنوات.

وبهذا تكون قد انتهت دراسة **FIRE FISH**.

تحصي النتائج التالية بيانات عن الفعالية (مدى نجاح ريسديبيلام) والأمان (الآثار الجانبية) من الفئة المجمعّة في دراسة **FIREFISH** بعد 5 سنوات من تلقي العلاج.

تلقى جميع هؤلاء الأطفال الجرعة النهائية المختارة (أي الجرعة العالية) منذ بداية التجربة السريرية.



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما مواصفات الأطفال اللازمة قبل البدء في تلقي العلاج في دراسة FIREFISH؟

أجريت تقييمات في بداية الدراسة (خط الأساس) قبل إعطاء ريسديبيلام.

شملت الفئة المجمعّة 17 طفلاً من الجزء 1 و 41 طفلاً من الجزء 2 تم إعطاؤهم الجرعة العالية من ريسديبيلام.

الفئة المجمعّة (58 طفلاً)

57
(33 من أصل 58 طفلاً)
كن إناثا



43%
(25 من أصل 58 طفلاً)
كانوا من الذكور



عانى (66%) من الأطفال من أعراض SMA لمدة
تزيد عن 3 أشهر قبل بدء العلاج باستخدام ريسديبيلام

38

كان عمر معظم الأطفال أقل من
شهرين عندما بدأ ظهور أعراض SMA

.2



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما نتائج الفئة المجمعّة بعد 5 سنوات من العلاج؟

من الأطفال كانوا على
قيد الحياة ولم يحتاجوا
إلى دعم تنفس دائم*

81%



من الأطفال
كانوا أحياء

91%



*يعرّف دعم التنفس الدائم بأنه **ثقب القصبة الهوائية أو BiPAP** (الضغط الايجابي لمجرى الهواء ذو المستوى الثنائي) لمدة 16 ساعة على الأقل يوميا بشكل مستمر لأكثر من 3 أسابيع أو **التنبيب** المستمر لأكثر من 3 أسابيع، في غياب، أو بعد معالجة، حدث حاد قابل للعلاج. **ثقب القصبة الهوائية** عبارة عن إجراء يتم فيه إدخال أنبوب إلى القصبة الهوائية من خلال الرقبة. وهذا يساعد الهواء على الدخول إلى الرئتين. **BiPaP** عبارة عن جهاز يساعد على التنفس باستخدام قناع الوجه. **التنبيب** عبارة عن إدخال أنبوب إلى القصبة الهوائية من خلال الفم. وهذا يساعد الهواء على الدخول إلى الرئتين.

Roche



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كم عدد الأطفال الذين تمكّنوا من الجلوس دون دعم بعد 5 سنوات من العلاج باستخدام ريسديبلام؟

تمكّنوا من الجلوس دون دعم لمدة 5 ثوان على الأقل،
وفقاً لقياس BSID-III.

62%
(36 من أصل 58 طفلاً)

تمكّنوا من الجلوس دون دعم لمدة 30 ثانية على الأقل،
وفقاً لمقياس BSID-III.

59%
(34 من أصل 58 طفلاً)

تمكّنوا من الجلوس دون دعم، وفقاً لمقياس HINE-2.

59%
(34 من أصل 58 طفلاً)



لمزيد من المعلومات حول مقاييس القدرة البدنية، يرجى الاطلاع على الكتيب "فهم MFM و SMAIS في سياق قياسات النتائج لمرض SMA".

BSID-III، مقياس ببلي لنمو الرضع والأطفال الصغار، الإصدار الثالث؛ HINE-2، فحص هامرسميث العصبي للرضع، الوحدة 2.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كم عدد الأطفال الذين تمكّنوا من الوقوف والمشي بعد 5 سنوات من العلاج باستخدام ريسديبلام؟

كانوا قادرين على الوقوف دون دعم، وفقاً لمقياس BSID-III.

7%
(4 من أصل 58 طفلاً)



كانوا قادرين على الوقوف مع دعم أو دون دعم، وفقاً لمقياس HINE-2.

12%
(7 من أصل 58 طفلاً)

كانوا قادرين على المشي دون دعم، وفقاً لمقياس BSID-III.

0%
(0 من أصل 58 طفلاً)



كانوا قادرين على المشي بدعم من، وفقاً لمقياس HINE-2.

10%
(6 من أصل 58 طفلاً)

لمزيد من المعلومات حول مقاييس الحركة هذه، يرجى الاطلاع على الكتيب "فهم MFM و SMAIS في سياق قياسات النتائج لمرض SMA".

BSID-III، مقاييس بيبي لنمو الرضع والأطفال الصغار، الإصدار الثالث؛ HINE-2، فحص هامرسميث العصبي للرضع، الوحدة 2.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كم عدد الأطفال الذين تمكّنوا من البلع وتلقي الغذاء عن طريق الفم بعد 5 سنوات من العلاج باستخدام ريسديبلام؟

%80

(37 من أصل 46 طفلاً)

كانوا قادرين على تلقي
الغذاء عن طريق الفم، دون
استخدام دعم للتغذية.

%91

(42 من أصل 46 طفلاً)

كانوا قادرين على تلقي
الغذاء عن طريق الفم.

%96

(46 من أصل 48 طفلاً)

كانوا قادرين على البلع.



- فحصت تقييمات البلع وتلقي الغذاء قدرة الأطفال على تناول الطعام عن طريق الفم ومدى قدرتهم على ابتلاع الطعام أو المشروبات.
- تم توفير الدعم لتلقي الغذاء عن طريق أنبوب تغذية .



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

تتوفر معلومات حول الآثار الجانبية مستخلصة من الأطفال في دراسة FIREFISH بعد 5 سنوات من العلاج باستخدام ريسديبلام

وبهذا تكون قد انتهت دراسة FIRE FISH . أكمل الأطفال ما يصل إلى 5 سنوات من العلاج.

تم الإبلاغ عن الآثار الجانبية للفئة المجمعة في دراسة FIREFISH، والتي تشمل جميع الأطفال الذين شاركوا في الجزء 1 الذين تم إعطاؤهم الجرعة العالية من ريسديبلام وجميع الأطفال الذين شاركوا في الجزء 2.

الآثار الجانبية عبارة عن مشكلات طبية (مثل الشعور بالدوار أو الشعور بالتوعك) تحدث أثناء الدراسة.

ليست كل الآثار الجانبية مرتبطة بدواء الدراسة، ويحدث بعضها بالصدفة. يبلغ الأطباء شركة Roche بجميع المشكلات الطبية التي يعاني منها المشاركون أثناء الدراسة، حتى يتمكنوا من البحث عن الأنماط في كل شخص يشارك.

من المهم معرفة ما يلي:

- لم يتعرض جميع الأشخاص في هذه الدراسة لكل الآثار الجانبية المدرجة.
- قد تكون الآثار الجانبية خفيفة وقد تصبح خطيرة، ويمكن أن تختلف من شخص لآخر.
- من المهم أن تدرك أن الآثار الجانبية التي أبلغ عنها هنا مأخوذة من هذه الدراسة فقط. لذلك، قد تختلف الآثار الجانبية الموضحة هنا عن تلك التي لوحظت في دراسات أخرى، أو تلك التي تكون مكتوبة في نشرة الدواء.

الأعراض الجانبية الخطيرة والشائعة التي أبلغ عنها في دراسة FIREFISH مدرجة في الأقسام التالية.





أين يمكننا العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الآثار الجانبية الخطيرة التي ظهرت في دراسة FIREFISH؟

يعتبر الأثر الجانبي "خطيرًا" إذا كان مهددًا للحياة أو يحتاج إلى رعاية في المستشفى أو يسبب مشكلات دائمة.

ليست كل الآثار الجانبية الخطيرة التي أبلغ عنها مرتبطة بدواء الدراسة.

في دراسة **FIRE FISH**، عانى طفلان من آثار جانبية خطيرة اعتقد أطباء الدراسة أنها مرتبطة بتلقي ريسديبلام. تمثلت الآثار الجانبية في حدوث عدوى في الأكياس الهوائية في الرئتين (التهاب رئوي) ونقص الأكسجين في الجسم (الاختناق).

أبلغ عن آثار جانبية خطيرة أصابت 47 طفلاً من أصل 58 طفلاً (81%) في دراسة **FIRE FISH**.

ترد هنا الآثار الجانبية الخطيرة الأكثر شيوعًا.

أبلغ عن كل من هذه الآثار الجانبية لدى أربعة أطفال على الأقل.

كم بلغت نسبة الأطفال الذين أبلغوا عن هذا الأثر الجانبي؟

الآثار الجانبية الخطيرة الأكثر شيوعًا

45% (26 من أصل 58 طفلاً)

عدوى الأكياس الهوائية في الرئتين (التهاب الرئوي)

10% (6 من أصل 58 طفلاً)

صعوبة في التنفس (ضائقة تنفسية)

9% (5 من أصل 58 طفلاً)

عدوى في الرئة ناجمة عن فيروس (التهاب رئوي فيروسي)

7% (4 من أصل 58 طفلاً)

نقص الأكسجين في الجسم (فشل تنفسي)





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الآثار الجانبية التي حدثت في دراسة FIREFISH؟

الآثار الجانبية عبارة عن مشكلات طبية (مثل الشعور بالدوار أو الشعور بالتوعك) تحدث أثناء الدراسة. ليست كل الآثار الجانبية التي أُبلغ عنها مرتبطة بدواء الدراسة.

ترد هنا الآثار الجانبية الأكثر شيوعاً التي أُبلغ عنها في دراسة FIREFISH

أُبلغ عن كل من هذه الآثار الجانبية لدى 11 طفلاً على الأقل.

كم بلغت نسبة الأطفال الذين أبلغوا عن هذا الأثر الجانبي؟

الآثار الجانبية الأكثر شيوعاً

64%
(37 من أصل 58 طفلاً)

عدوى في الأنف والحلق والجيوب الأنفية (عدوى الجهاز التنفسي العلوي)
الحمى (السخونة)

50%
(29 من أصل 58 طفلاً)

عدوى الأكياس الهوائية في الرئتين (الالتهاب الرئوي)

28%
(16 من أصل 58 طفلاً)

التهاب الأنف والحلق (التهاب البلعوم الأنفي)
إسهال

26%
(15 من أصل 58 طفلاً)

الإمساك

21%
(12 من أصل 58 طفلاً)

الإصابة بالتوعك (القيء)
السعال
كوفيد-19
سيلان الأنف أو انسدادها أو العطاس (التهاب الأنف)

19%
(11 من أصل 58 طفلاً)

التهاب المسالك الهوائية في الرئة (التهاب القصبات)
عدوى في الأنف والحلق والمجاري الهوائية (عدوى الجهاز التنفسي)





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

ما الآثار الجانبية المرتبطة بالعلاج باستخدام ريسديبلام؟

في دراسة **FIREFISH**، أبلغ الأطباء عن آثار جانبية يعتقد أنها مرتبطة باستخدام ريسديبلام ظهرت لدى 11 من أصل 58 طفلاً (19%).

ترد هنا الآثار الجانبية الأكثر شيوعاً المرتبطة بتلقي ريسديبلام.

أبلغ عن كل من هذه الآثار الجانبية لدى طفلين على الأقل.

كم بلغت نسبة الأطفال الذين أبلغوا عن هذا الأثر الجانبي؟	الآثار الجانبية الأكثر شيوعاً المرتبطة بالعلاج باستخدام ريسديبلام
5% (3 من أصل 58 طفلاً)	دم في البول (البيلة الدموية)
3% (2 من أصل 58 طفلاً)	عدوى الأكياس الهوائية في الرئتين (الالتهاب الرئوي)
3% (2 من أصل 58 طفلاً)	الإمساك
3% (2 من أصل 58 طفلاً)	التهاب المسالك البولية
3% (2 من أصل 58 طفلاً)	تغير لون الجلد
3% (2 من أصل 58 طفلاً)	منطقة مسطحة على الجلد حمراء ومغطاة ببثور صغيرة (طفح يُقعى حطاطي)



أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

كيف ساعدت هذه الدراسة الأشخاص المصابين بـ SMA والباحثين؟

بالنسبة لحالة صحية مثل SMA التي توجد بها ثغرات طبية متبقية واحتياجات لم تتم تلبيتها بعد، فإن دراسة العقاقير الجديدة المحتملة وأنماط إعطاء مختلفة (مثل ريسديبيلام باعتباره العلاج الفموي الوحيد المعتمد لـ SMA) تُعدّ أمرًا مهمًا لتعزيز نتائج المرضى ورعايتهم.

قدّمت النتائج المستخلصة من دراسة **FIREFISH** للباحثين والمرضى المصابين بـ SMA فهما أفضل لآثار ريسديبيلام على الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA.

الدراسات التي تُجرى على ريسديبيلام مستمرة ومن المقرر إجراء المزيد من الدراسات.

ساعدت النتائج في العثور على جرعة ريسديبيلام الأكثر فعالية للأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA وأدت إلى اعتماد السلطات الصحية لريسديبيلام لعلاج SMA.

وافقت هيئة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA) على استخدام ريسديبيلام لعلاج SMA لدى المرضى البالغين والأطفال.

وافقت المفوضية الأوروبية على استخدام ريسديبيلام لعلاج SMA لدى المرضى المصابين بـ SMA من النوع 1 أو النوع 2 أو النوع 3 أو الذين لديهم ما يتراوح بين نسخة إلى أربعة نسخ من جين SMN2.

يتضمن هذا الملخص نتائج دراسة **FIREFISH** بأكملها. عُولج الأطفال باستخدام ريسديبيلام لمدة تصل إلى 5 سنوات.

تُعدّ هذه النتائج مهمة لفهم ملف الأمان الخاص ريسديبيلام في علاج الأطفال المصابين بالنوع 1 من SMA باستخدام ريسديبيلام.

لا توجد دراسة واحدة يمكن أن نخبرنا بكل شيء عن مخاطر دواء ما وفوائده. تحدث دائما مع طبيبك قبل اتخاذ أي قرار بشأن علاجك.





أين يمكنني العثور
على مزيد من
المعلومات؟

ماذا تعلمنا
من الدراسة؟

ماذا كانت
الآثار الجانبية؟

ماذا كانت
نتائج الدراسة؟

ماذا حدث
أثناء الدراسة؟

من يمكنه المشاركة
في الدراسة؟

معلومات عامة
حول الدراسة

معلومات إضافية

أين يمكنني العثور على مزيد من المعلومات؟

إذا شاركت أنت أو طفلك في هذه الدراسة وكانت لديك أي أسئلة تدور حول النتائج، يرجى التحدث مع طبيبك.

إذا كانت لديك أي أسئلة إضافية، فيرجى التواصل مع ممثل المكتب المحلي لديك التابع لشركة Roche.

عنوان الراعي لهذه التجربة:

F. Hoffmann-La Roche, Grenzacherstrasse 124 CH-4070
Basel، سويسرا

يمكنك العثور على مزيد من المعلومات حول هذه الدراسة على المواقع الإلكترونية المدرجة أدناه:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02913482>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/muscle-and-peripheral-nerve-disease/sma/investigate-safety--tolerability--pk--pd-and-efficacy-of-ro70340.html>

العنوان الكامل لهذه الدراسة هو: دراسة متعددة المراكز، مفتوحة التسمية، مكونة من جزأين يتسمان بسلاسة الانتقال بينهما، لبحث أمان RO7034067 والقدرة على تحمله، وجرائكه الدوائية، وديناميكياته الدوائية، وفعاليتها حين الاستعمال مع الرضع المصابين بالنوع 1 من ضمور العضلات الشوكي.

تعرف الدراسة باسم 'FIREFISH'.

رقم البروتوكول الخاص بهذه الدراسة هو: BP39056.

معرف ClinicalTrials.gov لهذه الدراسة هو: NCT02913482.

رقم EudraCT لهذه الدراسة هو: 2016-000778-40.

قدّمت وثائق سابقة ملخصًا لنتائج دراسة FIREFISH بعد أن أكمل الأطفال عامًا واحدًا وعامين من العلاج باستخدام ريسديبيلام.

يرجى النقر [هنا](#) للاطلاع على ملخص العام الواحد.

يرجى النقر [هنا](#) للاطلاع على ملخص العامين.

