

Resumo dos resultados finais do FIREFISH, um estudo clínico para estabelecer a eficácia e a segurança do risdiplam em crianças com AME tipo 1.



Veja o título completo do estudo no final do documento

Informações gerais sobre o estudo

Quem podia participar do estudo?

O que aconteceu durante o estudo?

Quais foram os resultados do estudo?

Quais foram os efeitos colaterais?

O que aprendemos com o estudo?

Onde posso obter mais informações?



Sobre este resumo

Este é um resumo dos resultados de um ensaio clínico (chamado "estudo" neste documento). Ele foi redigido para o público e para as pessoas que participaram do estudo.

O estudo **FIREFISH** (NCT02913482) teve início em dezembro de 2016 e terminou em dezembro de 2023. Este resumo foi redigido após o término do estudo. O medicamento sendo investigado neste estudo foi o risdiplam.

O estudo **FIREFISH** alcançou seus objetivos (desfechos) em novembro de 2019, quando o último participante a ser incluído no estudo completou 1 ano de tratamento com risdiplam. Este documento fornece um resumo dos resultados finais do **FIREFISH** após o término do estudo.

Este resumo inclui as seguintes informações:

Informações gerais sobre o estudo

Quem podia participar do estudo?

O que aconteceu durante o estudo?

Quais foram os resultados do estudo?

Quais foram os efeitos colaterais?

O que aprendemos com o estudo?

Onde posso obter mais informações?

Documentos anteriores forneceram um resumo dos resultados do estudo **FIREFISH** depois de as crianças terem completado 1 ano e 2 anos de tratamento com risdiplam.

Clique [aqui](#) para ver o resumo de 1 ano.

Clique [aqui](#) para ver o resumo de 2 anos



O que é AME?

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neuromuscular genética rara que destrói as células nervosas que controlam os músculos, chamadas neurônios motores.



A AME destrói as células nervosas que controlam os músculos na medula espinhal, chamadas neurônios motores.



A perda de neurônios motores causa fraqueza muscular e perda do movimento devido à perda de massa muscular (atrofia).

As pessoas que vivem com AME têm dificuldade em desempenhar as funções básicas da vida, incluindo respirar e engolir.

A gravidade da AME varia de uma pessoa para outra e depende de uma série de fatores, incluindo a idade de início dos sintomas. Existem cinco tipos de AME, com base na idade em que os sintomas começam e no marco físico mais alto alcançado (como ser capaz de sentar ou andar).

Tipos de AME

Tipo	Idade em que os sintomas começam	Efeitos nos músculos e na capacidade motora
0	Antes do nascimento	Os bebês não se movem ativamente no útero e nascem com fraqueza muscular grave
1	Do nascimento até 6 meses	As crianças nunca poderão sentar-se de forma independente
2	6 a 18 meses	As crianças são normalmente capazes de se sentar, e algumas podem ficar em pé com ajuda, mas não conseguem andar
3	A partir de 18 meses	As crianças conseguem andar, mas podem perder essa capacidade com o tempo
4	A partir de 18 anos	Essa forma de AME se desenvolve na idade adulta. Esse é o tipo de AME menos grave

Informações
gerais sobre o
estudo

Quem podia
participar do
estudo?

O que aconteceu
durante o
estudo?

Quais foram os
resultados
do estudo?

Quais foram os
efeitos
colaterais?

O que
aprendemos
com o estudo?

Onde posso
obter mais
informações?



Por que este estudo foi realizado?

Quando este estudo começou, não havia tratamentos disponíveis para pessoas com AME.

Os objetivos dos novos tratamentos são tratar a causa subjacente da AME, ajudar as pessoas com AME a viver melhor, reduzir os sintomas gerais, manter a capacidade de uma pessoa de se movimentar (função motora) e melhorar a qualidade de vida.

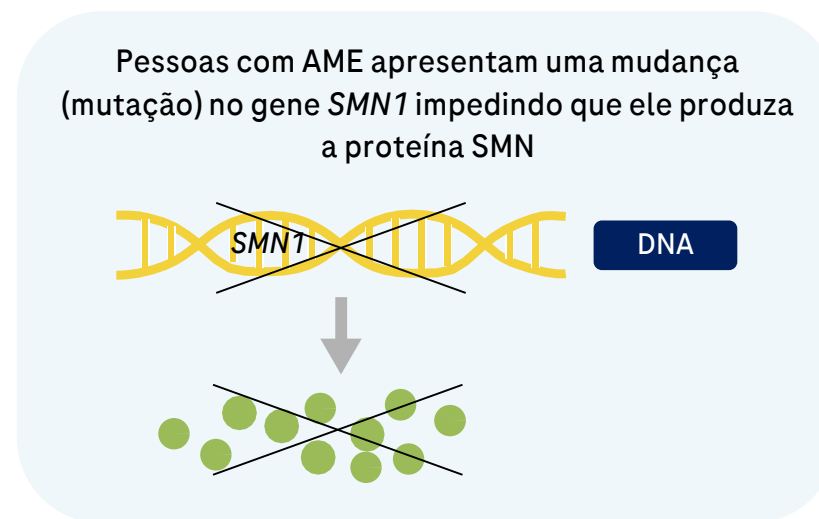
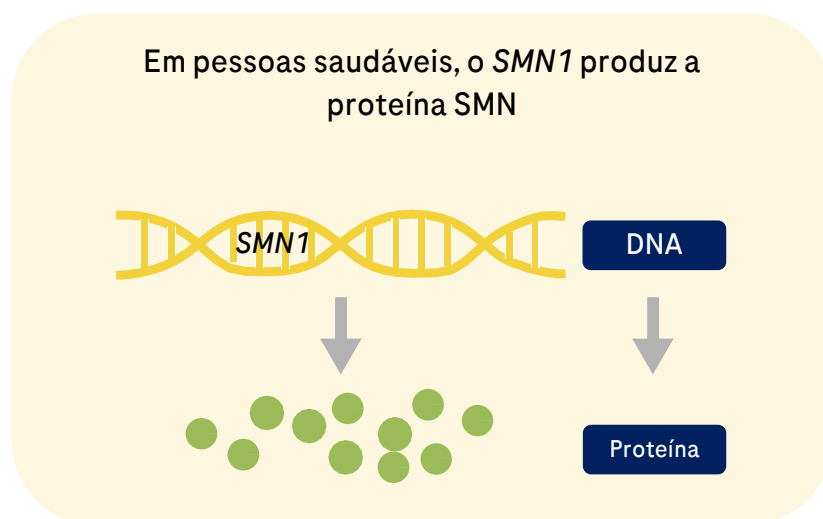
O estudo **FIREFISH** foi realizado para compreender a segurança e a eficácia (quão bem funciona um tratamento) do risdiplam em bebês com AME tipo 1, com idade entre 1 e 7 meses quando foram incluídos no estudo.

O que causa a AME? (1/2)

A AME é causada por níveis baixos de uma proteína denominada "sobrevivência do neurônio motor" (também conhecida como proteína SMN).

A proteína SMN é essencial para a função dos nervos que controlam os músculos. Sem níveis suficientes da proteína SMN, esses nervos param de funcionar adequadamente (degeneram) e por fim morrem, fazendo com que os músculos se tornem fracos e definhem.

A proteína SMN é produzida principalmente por um gene denominado "sobrevivência do neurônio motor 1" (também conhecido como *SMN1*).



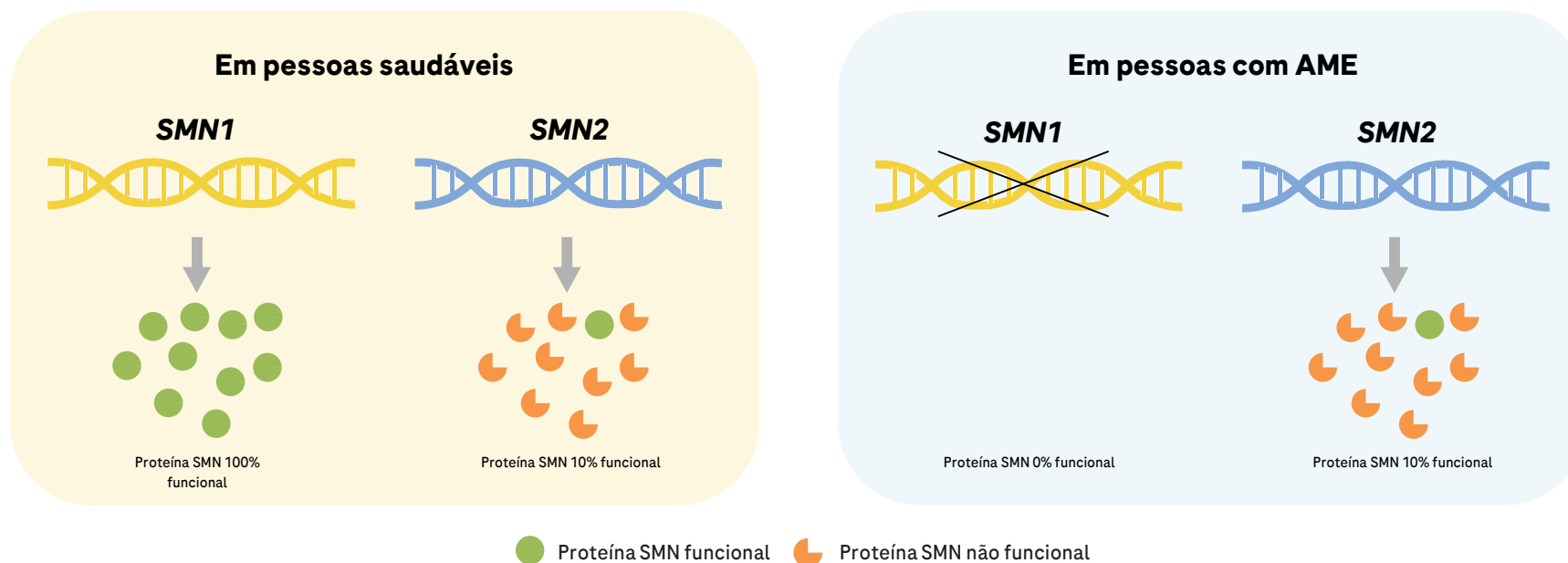
● Proteína SMN funcional

O que causa a AME? (2/2)

As pessoas têm um gene semelhante, denominado sobrevivência do neurônio motor 2 (também conhecido como *SMN2*), que pode atuar como um gene de "reserva" para produzir a proteína SMN. As pessoas com AME precisam usar o *SMN2* para produzir a proteína SMN, pois elas não têm o *SMN1*.

No entanto, apenas cerca de 1 em 10 (10%) da proteína SMN produzida pelo *SMN2* funciona corretamente. Essa proteína não é suficiente para compensar a perda do gene *SMN1*.

Quanto mais cópias do gene *SMN2* uma pessoa tiver, mais proteína SMN poderá produzir, o que torna os sintomas da AME menos graves.



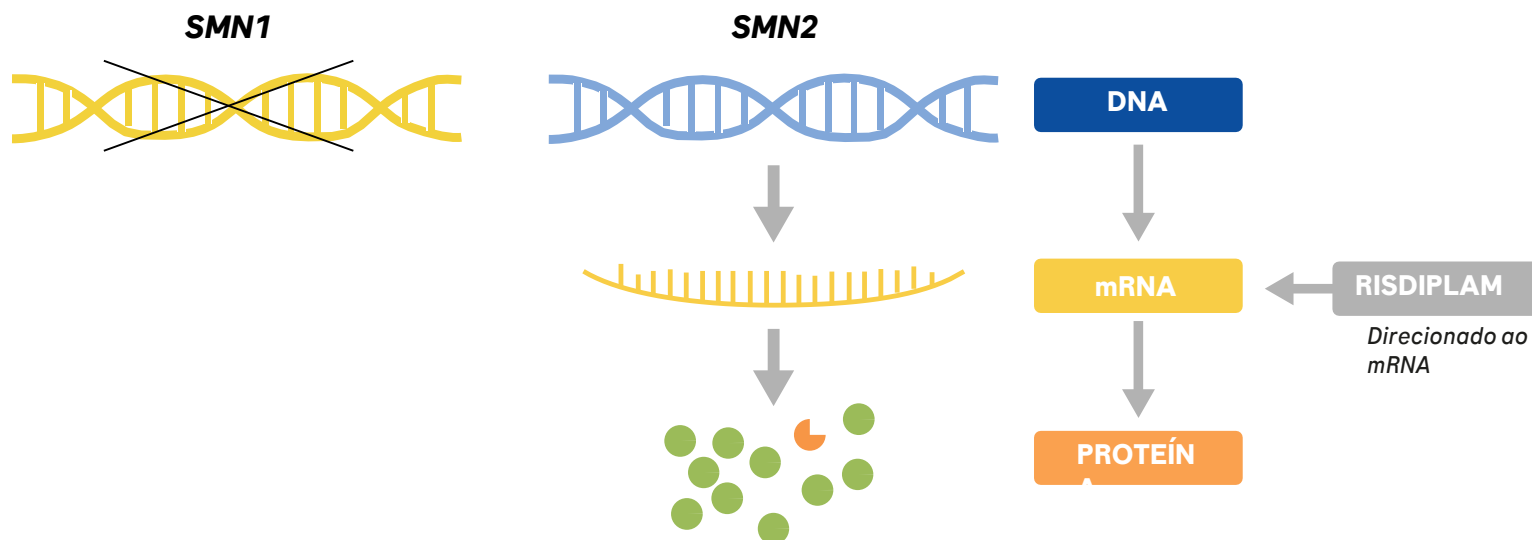
O que é o risdiplam e como ele funciona?

O risdiplam é o medicamento estudado no **FIREFISH**.

O risdiplam é um líquido tomado uma vez ao dia pela boca (via oral) ou por uma sonda de alimentação para pessoas com dificuldade em engolir.

O risdiplam foi projetado para ajudar o gene *SMN2* a produzir mais proteína SMN funcional para manter e melhorar a função muscular.

As instruções do gene *SMN2* são defeituosas, e a maior parte da proteína SMN produzida não funciona. O risdiplam direciona as instruções (mRNA) do gene *SMN2* para produzir mais proteína SMN funcional.



● Proteína SMN funcional ● Proteína SMN não funcional

O que os pesquisadores queriam descobrir?

O objetivo do estudo **FIREFISH** foi responder a perguntas investigativas sobre o risdiplam.

Para compreender os efeitos do risdiplam, o estudo incluiu várias medidas de resultado (desfechos).

Desfechos são medidas específicas que os investigadores usam para avaliar os efeitos de um tratamento em estudo.

- **Desfechos primários** são usados para responder à principal pergunta da investigação do estudo. O estudo é considerado bem-sucedido se esses resultados ou eventos ocorrerem em um determinado ponto do estudo (o desfecho principal é alcançado).
- **Desfechos secundários e exploratórios** fornecem informações adicionais para ajudar os pesquisadores a compreender os efeitos do tratamento estudado.

O estudo **FIREFISH** foi dividido em duas partes.

O que os pesquisadores queriam descobrir na Parte 1 do FIREFISH?

Qual era a principal pergunta (o **desfecho principal**) que os pesquisadores queriam responder com a **Parte 1 do FIREFISH**?

A dose recomendada de risdiplam para o tratamento de bebês entre 1 e 7 meses de idade com AME tipo 1 para uso na **Parte 2 do FIREFISH**.

- Para medir isso, os pesquisadores analisaram os níveis sanguíneos de risdiplam nos bebês do estudo e mediram quanta proteína SMN eles tinham.
- A dose selecionada precisava ser segura e levar a um aumento significativo nos níveis da proteína SMN.

O que os pesquisadores queriam descobrir na Parte 2 do FIREFISH?

- A dose selecionada do risdiplam na **Parte 1 do FIREFISH** foi dada a todos os bebês na **Parte 2**.
- Qual era a principal pergunta (o **desfecho principal**) que os pesquisadores queriam responder com a **Parte 2 do FIREFISH**?

O **desfecho principal** da **Parte 2 do FIREFISH** foi investigar a eficácia do risdiplam (ou seja, como o risdiplam funciona).

- Ela foi avaliada como a porcentagem de crianças que conseguiram ficar sentadas sem apoio durante pelo menos 5 segundos, após 1 ano de tratamento com risdiplam.
 - Esse desfecho foi escolhido porque crianças com AME tipo 1 que não recebem tratamento normalmente não conseguem sentar sem apoio.



O que os pesquisadores queriam saber durante todo o estudo de 5 anos do **FIREFISH**?

- Depois que os **desfechos principais** foram alcançadas nas **Partes 1 e Parte 2 do FIREFISH**, todas as crianças puderam continuar no estudo por até 5 anos.
- Quais foram outras perguntas importantes (**desfechos secundários e exploratórios**) que os pesquisadores queriam responder no **FIREFISH** durante todo o período de 5 anos?

Desfechos secundários e exploratórios investigaram quantas crianças:

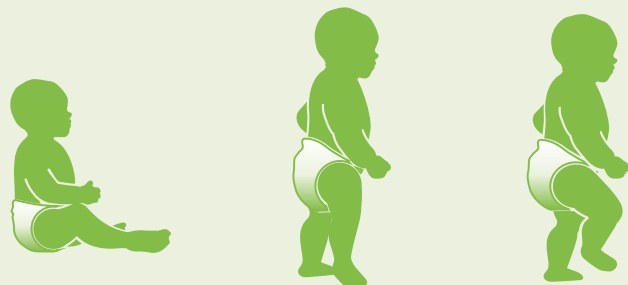
- estavam vivas
- eram capazes de se alimentar pela boca
- alcançaram marcos de movimento (motores)
- apresentaram efeitos colaterais

Como os pesquisadores mediram a capacidade física das crianças do FIREFISH?

A capacidade física se refere a como uma criança consegue usar diferentes partes do seu corpo para alcançar marcos como sentar, ficar em pé e andar.

No **FIREFISH** foram utilizados diferentes testes (resultados) para avaliar as crianças que receberam risdiplam.

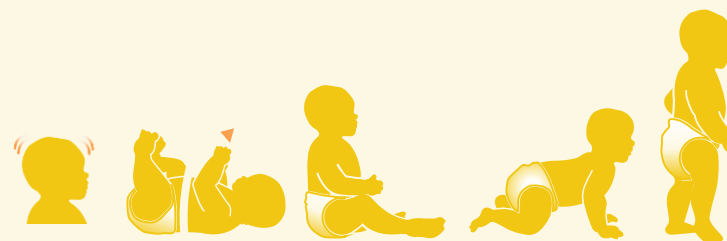
A Escala Bayley de Desenvolvimento Infantil, terceira edição (BSID-III)



A **BSID-III** mede o desempenho das crianças em uma variedade de atividades (como sentar, ficar de pé e andar) em comparação com outras crianças da mesma idade.

Por que esse teste? Trata-se de uma ferramenta para diagnóstico de atrasos no desenvolvimento de crianças entre 1 e 42 meses de idade.

Exame Neurológico Infantil de Hammersmith, Módulo 2 (HINE-2)



O **HINE-2** mede se a criança consegue alcançar marcos como manter a cabeça levantada, sentar, rolar, ficar de pé e andar.

Por que esse teste? Esse teste avalia se uma criança consegue alcançar marcos de movimento (motores) adequados à sua idade.

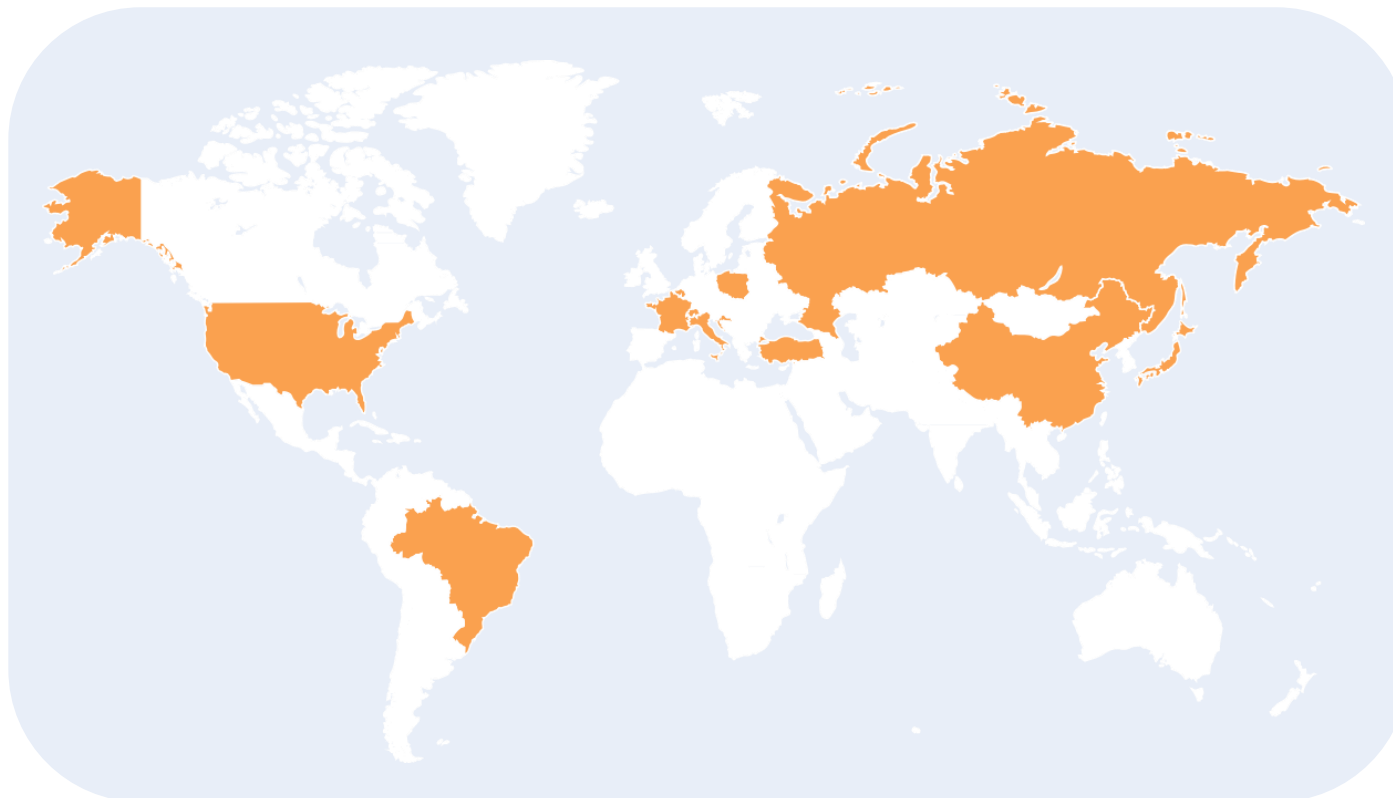
Quando e onde este estudo foi realizado?

O estudo **FIREFISH** teve início em dezembro de 2016 e terminou em dezembro de 2023, quando todas as crianças participantes haviam concluído até 5 anos de tratamento com risdiplam. Este resumo foi redigido após o término do estudo.

FIREFISH foi um estudo global realizado em 17 hospitais de 12 países. O mapa abaixo mostra onde o estudo foi realizado.

Os países onde FIREFISH foi realizado foram:

- Bélgica
- Brasil
- China
- Croácia
- França
- Itália
- Japão
- Polônia
- Rússia
- Suíça
- Turquia
- EUA



Quem podia participar do estudo?

O estudo **FIREFISH** incluiu bebês entre 1 e 7 meses de idade no momento da sua inclusão (entrada) no estudo. Todos eles haviam sido diagnosticados com AME.

Os principais requisitos para os bebês participarem no estudo foram:

Principais critérios de inclusão	Principais critérios de exclusão
<p>Os bebês podiam participar do estudo se:</p> <ul style="list-style-type: none"> Tivessem desenvolvido sintomas de AME entre a idade de 1 e 3 meses Tivessem feito um teste que confirmou a AME (diagnóstico genético) Tivessem duas cópias do gene <i>SMN2</i> Tivessem se recuperado de qualquer doença de curta duração no momento da triagem do estudo e fossem considerados suficientemente bem para participar 	<p>Os bebês não podiam participar do estudo se:</p> <ul style="list-style-type: none"> Tivessem participado de outro ensaio clínico nos últimos 3 meses Tivessem recebido anteriormente um tratamento com medicamentos ou terapia genética ou celular para AME Precisassem de suporte médico significativo para respirar por mais de 16 horas por dia Tivessem apresentado qualquer emergência recente envolvendo passar a noite no hospital ou alguma doença grave sem recuperação total

Para mais informações sobre os critérios de inclusão/exclusão, consulte: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.

Como foi projetado o estudo FIREFISH?

FIREFISH foi um estudo em "caráter aberto":

- "Caráter aberto" significa que todas as pessoas envolvidas no estudo, incluindo as crianças participantes, suas famílias e os médicos do estudo, sabiam qual tratamento o participante estava recebendo.
- Todos que participaram do estudo receberam risdiplam.
- Os participantes receberam risdiplam por 2 anos na parte principal do estudo.
- Após a conclusão da parte principal do estudo, os participantes podiam optar por continuar a receber risdiplam por mais 3 anos (chamado período de extensão aberta).

O FIREFISH foi projetado com duas partes:

- **A Parte 1** testou diferentes doses do risdiplam para encontrar a melhor dose para dar a bebês com AME tipo 1.
- **A Parte 2** mediu a eficácia (o grau de eficácia do tratamento) e a segurança do risdiplam em bebês com AME tipo 1. Os bebês que receberam risdiplam na Parte 2 receberam a dose selecionada na Parte 1.

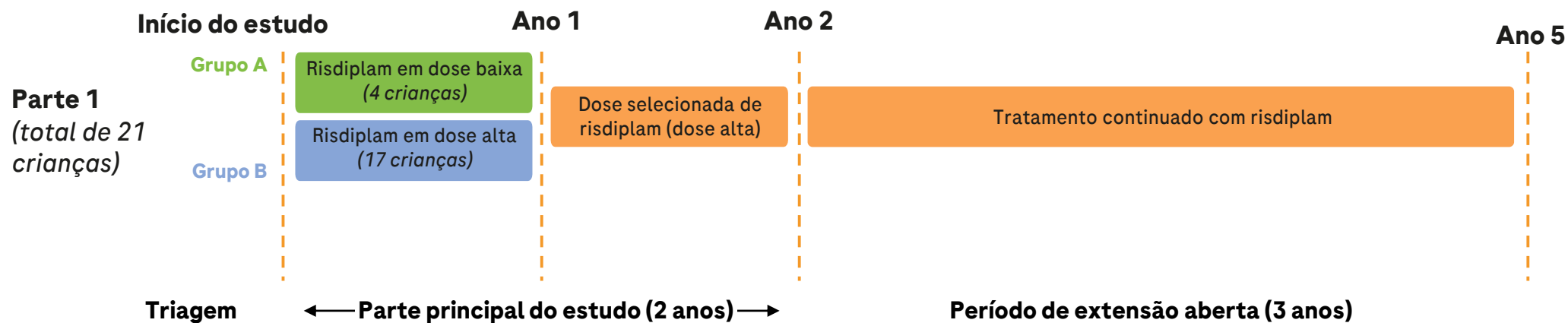
As Partes 1 e 2 incluíram crianças diferentes – as que participaram da Parte 1 não participaram da Parte 2.

O que aconteceu durante a Parte 1 do FIREFISH?

O objetivo da **Parte 1 do FIREFISH** foi encontrar a melhor dose de risdiplam para bebês com AME tipo 1. Essa dose seria usada no resto do estudo.

Os participantes foram divididos em dois grupos e receberam diferentes doses de risdiplam.

- O **Grupo A** (um total de **4 bebês**) recebeu uma **dose baixa** de risdiplam
- O **Grupo B** (um total de **17 bebês**) recebeu uma **dose alta** de risdiplam



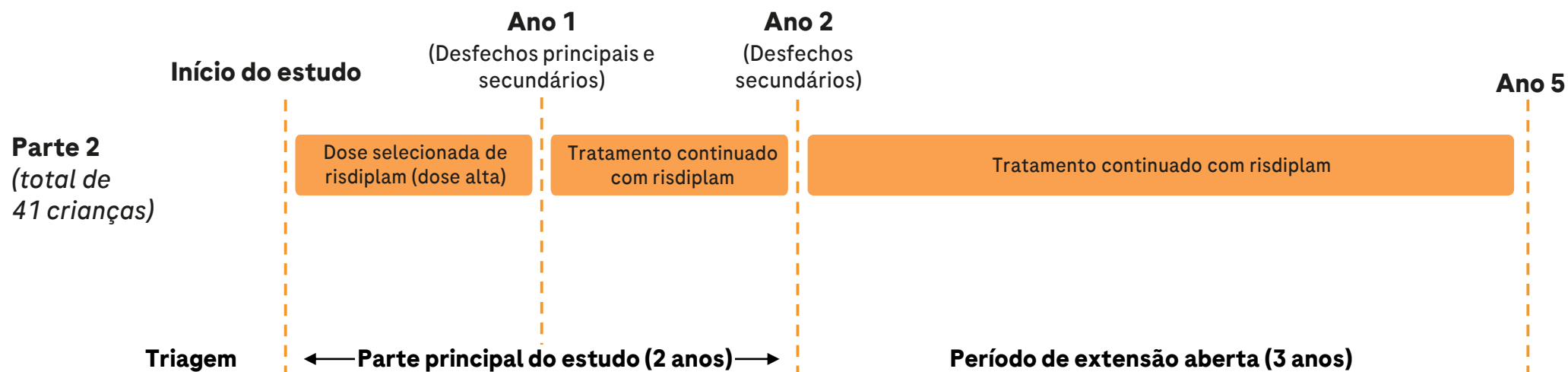
A dose selecionada na **Parte 1** de **FIREFISH** foi usada na **Parte 2** e no período de extensão aberta.

As quatro crianças que receberam a dose baixa de risdiplam passaram para a dose alta após 1 ano e puderam continuar no estudo por até 5 anos.

O que aconteceu durante a Parte 2 do FIREFISH?

O objetivo da Parte 2 do **FIREFISH** foi descobrir a eficácia do risdiplam no tratamento de bebês com AME tipo 1.

- A dose selecionada de risdiplam na Parte 1 (a dose alta) foi dada a todos os bebês na Parte 2.

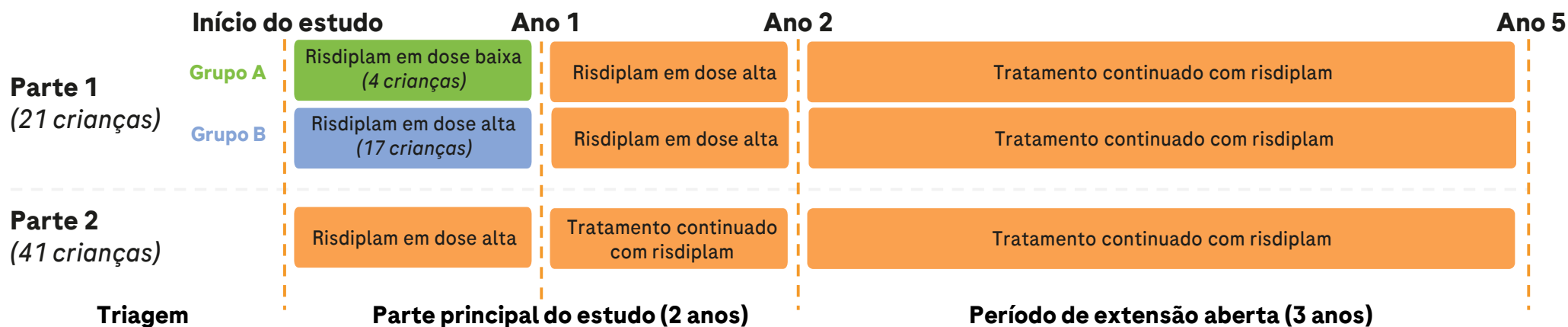


As Partes 1 e 2 incluíram crianças diferentes – as que participaram da Parte 1 não participaram da Parte 2.

O que aconteceu durante os 5 anos do estudo FIREFISH?

Depois que as crianças da **Parte 1** e da **Parte 2 do FIREFISH** concluíram 2 anos de tratamento com risdiplam, elas passaram para o período de extensão aberta.

Durante essa parte do estudo, todas as crianças receberam tratamento com risdiplam na dose alta durante mais 3 anos.



- As crianças que receberam a dose alta desde o início do estudo (Grupo B da **Parte 1 do FIREFISH**, e todas as crianças da **Parte 2 do FIREFISH**) podem ser agrupadas em um grupo maior chamado "**população agrupada**".
- Analisar os resultados da população maior, agrupada fornece evidências mais fortes do que se cada grupo fosse avaliado isoladamente. Isso significa que os pesquisadores podem ter mais confiança nas conclusões a que chegaram sobre o tratamento com risdiplam.

Todos os resultados de 5 anos do FIREFISH serão relatados para a população agrupada.

Quais eram as características dos bebês na Parte 1 e Parte 2 do FIREFISH antes de começarem o tratamento?

A Parte 1 incluiu 21 bebês



29%

(6 de 21 bebês)
eram meninos



71%

(15 de 21 bebês)
eram meninas



A idade média em que os sintomas começaram foi 1,9 mês

6

A idade média na inclusão foi 5,8 meses

A Parte 2 incluiu 41 bebês



46%

(19 de 41 bebês)
eram meninos



54%

(22 de 41 bebês)
eram meninas



A idade média em que os sintomas começaram foi 1,6 mês

5

A idade média de inclusão foi 5,2 meses

Quais foram os principais resultados da Parte 1 do FIREFISH?

A principal pergunta da pesquisa (**desfecho principal**) na **Parte 1 do FIREFISH** destinou-se a definir a dose recomendada de risdiplam para o tratamento de bebês com AME tipo 1.

- Foi escolhida a alta dose de risdiplam para uso na Parte 2, porque ela aumentou o nível de proteína SMN sem causar efeitos colaterais graves.
- Após a escolha da dose para a Parte 2, todos participantes da **Parte 1 do FIREFISH** passaram a receber a mesma dose de risdiplam até o término do estudo.

Quais foram os principais resultados da Parte 2 do FIREFISH?

O principal objetivo (o **desfecho principal**) da Parte 2 do **FIREFISH** foi investigar a eficácia do risdiplam (quão bem o risdiplam funciona).

A capacidade de sentar foi selecionada como a melhor maneira de medir a eficácia, porque, em geral, crianças com AME tipo 1 não tratada não alcançam esse marco de sentar.

Os pesquisadores analisaram os resultados depois que todos os bebês participantes da **Parte 2 do FIREFISH** concluíram 1 ano de tratamento.



Após 1 ano, os pesquisadores usaram a escala BSID-III para avaliar se os bebês conseguiam sentar sem apoio durante pelo menos 5 segundos

29%

(12 de 41 bebês)

conseguiram sentar sem apoio durante pelo menos 5 segundos.

Um documento anterior fornece um resumo dos resultados do estudo **FIREFISH** após os bebês terem concluído 1 ano de tratamento com risdiplam. Clique [aqui](#) para ver o resumo de 1 ano.

Para mais informações sobre a BSID-III, consulte a brochura "[Compreendendo a MFM e a SMAIS no contexto das medições de resultados na AME](#)".

Informações
gerais sobre o
estudo

Quem podia
participar do
estudo?

O que aconteceu
durante o
estudo?

Quais foram os
resultados
do estudo?

Quais foram os
efeitos
colaterais?

O que
aprendemos
com o estudo?

Onde posso
obter mais
informações?



Crianças na Parte 1 e Parte 2 do FIREFISH foram tratadas com a dose selecionada do risdiplam por até 5 anos.

O estudo **FIREFISH** está agora concluído.

Os resultados a seguir relatam dados de eficácia (quão bem funciona o risdiplam) e segurança (efeitos colaterais) da população agrupada do **FIREFISH** após 5 anos de tratamento.

Todas essas crianças receberam a dose final escolhida (ou seja, a dose alta) desde o início do ensaio.



Quais eram as características das crianças antes de iniciarem o tratamento no FIREFISH?

As avaliações foram realizadas no início do estudo (avaliação inicial) antes da administração do risdiplam.

A população agrupada incluiu as 17 crianças da Parte 1 e as 41 crianças da Parte 2, que receberam a dose alta de risdiplam.

População agrupada (58 crianças)



43%

(25 de 58 crianças)
eram meninos



57%

(33 de 58 crianças)
eram meninas

<2

A maioria das crianças tinha menos de 2 meses de idade quando começaram a apresentar sintomas da AME

38

crianças (66%) apresentaram sintomas da AME por mais de 3 meses antes de iniciarem o tratamento com risdiplam

Informações
gerais sobre o
estudo

Quem podia
participar do
estudo?

O que aconteceu
durante o
estudo?

Quais foram os
resultados
do estudo?

Quais foram os
efeitos
colaterais?

O que
aprendemos
com o estudo?

Onde posso
obter mais
informações?



Quais foram os resultados da população agrupada após 5 anos de tratamento?



91% das crianças
estavam vivas



81% das crianças
estavam vivas e não
precisavam de
suporte respiratório
permanente*

*Suporte respiratório permanente é definido como **traqueostomia** ou **BiPAP** (pressão positiva de dois níveis nas vias aéreas) durante pelo menos 16 horas por dia, continuamente, por mais de 3 semanas ou **intubação** contínua durante mais de 3 semanas, na ausência ou após a resolução de um evento agudo reversível.

Traqueostomia é um procedimento no qual um tubo é inserido na traqueia através do pescoço. Isso ajuda o ar a entrar nos pulmões.

BiPAP é uma máquina que ajuda na respiração com o uso de uma máscara facial.

Intubação é quando um tubo é inserido através da boca e desce pela traqueia. Isso ajuda o ar a entrar nos pulmões.



Quantas crianças conseguiram ficar sentadas sem apoio após 5 anos de tratamento com risdiplam ?



62%

(36 de 58 crianças)

conseguiram sentar sem apoio por pelo menos 5 segundos, conforme medido pela BSID-III.

59%

(34 de 58 crianças)

conseguiram sentar sem apoio por pelo menos 30 segundos, conforme medido pela BSID-III.

59%

(34 de 58 crianças)

conseguiram sentar sem apoio, conforme medido pelo HINE-2.

Para obter mais informações sobre as medidas de capacidade física, consulte a brochura "[Compreendendo a MFM e a SMAIS no contexto das medições de resultados na AME](#)".

Quantas crianças conseguiram ficar de pé e andar após 5 anos de tratamento com risdiplam?



7%
(4 de 58 crianças)

conseguiram ficar de pé sem apoio, conforme medido pela BSID-III.

12%
(7 de 58 crianças)

conseguiram ficar de pé com ou sem apoio, conforme medido pelo HINE-2.



0%
(0 de 58 crianças)

conseguiram andar sem apoio, conforme medido pela BSID-III.

10%
(6 de 58 crianças)

conseguiram andar com apoio, conforme medido pelo HINE-2.

Para obter mais informações sobre as medidas de mobilidade, consulte a brochura "[Compreendendo a MFM e a SMAIS no contexto das medições de resultados na AME](#)".

Quantas crianças conseguiram engolir e comer pela boca após 5 anos de tratamento com risdiplam?



96%

(46 de 48 crianças)

conseguiram engolir.

91%

(42 de 46 crianças)

conseguiram comer pela boca.

80%

(37 de 46 crianças)

conseguiram comer pela boca, sem nenhum suporte nutricional.

- As avaliações da deglutição e da alimentação analisaram a capacidade das crianças de comer pela boca e como conseguiam engolir alimentos ou bebidas.
- O suporte nutricional foi fornecido por um tubo de alimentação.

Informações sobre efeitos colaterais de crianças no FIREFISH após 5 anos de tratamento com risdiplam estão disponíveis

O estudo **FIREFISH** está agora concluído. As crianças concluíram até 5 anos de tratamento.

Os efeitos colaterais para a população agrupada do **FIREFISH**, que inclui todas as crianças da Parte 1 que receberam a alta dose de risdiplam e todas as crianças da Parte 2, são relatados.

Os efeitos colaterais são problemas médicos (como sentir tontura ou enjoo) que ocorrem durante o estudo.

Nem todos os efeitos colaterais estão relacionados ao medicamento do estudo, alguns ocorrem por acaso. Os médicos relatam todos os problemas médicos que os participantes apresentam durante o estudo à Roche, para que possam monitorar padrões em todas as pessoas que participam.

É importante saber que:

- Nem todas as pessoas neste estudo tiveram todos os efeitos colaterais listados.
- Os efeitos colaterais podem ser leves até muito graves e podem ser diferentes para cada pessoa.
- É importante estar ciente que os efeitos colaterais aqui relatados se referem a este estudo específico. Assim, os efeitos colaterais mostrados aqui podem ser diferentes dos observados em outros estudos ou dos que aparecem na bula do medicamento.

Os efeitos colaterais graves e comuns relatados no **FIREFISH** estão listados nas próximas seções.

Quais foram os efeitos colaterais grave no FIREFISH?

Um efeito colateral é considerado “grave” se for de ameaça à vida, precisar de cuidados hospitalares ou causar problemas duradouros.

Nem todos os efeitos colaterais graves relatados estão relacionados ao medicamento em estudo.

No FIREFISH duas crianças apresentaram efeitos colaterais graves que os médicos do estudo consideraram relacionados ao uso do risdiplam.

Eles consistiram em uma infecção nos alvéolos dos pulmões (pneumonia) e falta de oxigênio no corpo (asfixia).

Houve relatos de efeitos colaterais graves em 47 de 58 crianças (81%) no FIREFISH.

Os efeitos colaterais graves mais comuns são relatados aqui.

Cada um desses efeitos colaterais foi relatado em, pelo menos, quatro crianças.

Efeitos colaterais graves mais comuns	Que porcentagem das crianças relatou esse efeito colateral?
Infecção nos alvéolos dos pulmões (<i>pneumonia</i>)	45% (26 de 58 crianças)
Dificuldade em respirar (<i>desconforto respiratório</i>)	10% (6 de 58 crianças)
Infecção pulmonar causada por um vírus (<i>pneumonia viral</i>)	9% (5 de 58 crianças)
Falta de oxigênio no corpo (<i>insuficiência respiratória</i>)	7% (4 de 58 crianças)

Quais foram os efeitos colaterais no FIREFISH?

Efeitos colaterais são problemas médicos (como sentir tontura ou enjoo) que ocorrem durante o estudo. Nem todos os efeitos colaterais relatados estão relacionados ao medicamento do estudo.

Os efeitos colaterais mais comuns relatados no **FIREFISH** estão listados aqui.

Cada um desses efeitos colaterais foi relatado em pelo menos 11 crianças.

Efeitos colaterais mais comuns	Que porcentagem das crianças relatou esse efeito colateral?
Infecção no nariz, na garganta e nos seios nasais (<i>infecção do trato respiratório superior</i>) Febre (<i>pirexia</i>)	64% (37 de 58 crianças)
Infecção nos alvéolos dos pulmões (<i>pneumonia</i>)	50% (29 de 58 crianças)
Inflamação do nariz e da garganta (<i>nasofaringite</i>) Diarreia	28% (16 de 58 crianças)
Constipação	26% (15 de 58 crianças)
Sensação de enjoo (vômito) Tosse COVID-19 Nariz com coriza ou congestionado, espirros (<i>rinite</i>)	21% (12 de 58 crianças)
Inflamação das vias respiratórias nos pulmões (<i>bronquite</i>) Infecção no nariz, na garganta e nas vias respiratórias (<i>infecção do trato respiratório</i>)	19% (11 de 58 crianças)

Quais foram os efeitos colaterais relacionados ao tratamento com risdiplam?

No **FIREFISH** os médicos relataram efeitos colaterais considerados relacionados ao risdiplam em 11 de 58 crianças (19%).

Os efeitos colaterais mais comuns relacionados ao uso de risdiplam estão listados aqui.

Cada um desses efeitos colaterais foi relatado em pelo menos duas crianças.

Efeitos colaterais mais comuns relacionados ao tratamento com risdiplam	Que porcentagem das crianças relatou esse efeito colateral?
Sangue na urina (<i>hematúria</i>)	5% (3 de 58 crianças)
Infecção nos alvéolos dos pulmões (<i>pneumonia</i>)	3% (2 de 58 crianças)
Constipação	3% (2 de 58 crianças)
Infeção do trato urinário	3% (2 de 58 crianças)
Alteração na cor da pele	3% (2 de 58 crianças)
Área plana e vermelha na pele, coberta com pequenas saliências (<i>erupção cutânea maculopapular</i>)	3% (2 de 58 crianças)

Informações gerais sobre o estudo

Quem podia participar do estudo?

O que aconteceu durante o estudo?

Quais foram os resultados do estudo?

Quais foram os efeitos colaterais?

O que aprendemos com o estudo?

Onde posso obter mais informações?



Como esse estudo ajudou pessoas que vivem com AME e os pesquisadores?

Para uma doença como a AME para a qual ainda existem lacunas médicas e necessidades não atendidas dos pacientes, o estudo de possíveis novos medicamentos e diferentes modos de administração (como o risdiplam como o único tratamento oral aprovado para a AME) é importante para melhorar os resultados e os cuidados do paciente.

Os resultados do estudo **FIREFISH** deu aos pesquisadores e às pessoas que vivem com AME um melhor entendimento dos efeitos do risdiplam em crianças com AME tipo 1.

Estudos de risdiplam ainda estão em andamento, e outros estudos estão planejados.

Os resultados ajudaram a encontrar a dose mais eficaz de risdiplam para crianças com AME tipo 1 e levaram à aprovação do risdiplam para o tratamento da AME pelas autoridades sanitárias.

Risdiplam foi aprovado pela Agência Administração de Alimentos e Medicamentos (FDA) dos EUA para o tratamento da AME em pacientes adultos e pediátricos.

Risdiplam foi aprovado pela Comissão Europeia para o tratamento da AME em pacientes com AME tipo 1, tipo 2 ou tipo 3 ou com uma a quatro cópias do gene *SMN2*.

Este resumo inclui os resultados de todo o estudo **FIREFISH**. As crianças foram tratadas com risdiplam por até 5 anos.

Esses resultados são importantes para compreender o perfil de segurança do risdiplam no tratamento de crianças com AME tipo 1.

Nenhum estudo individual é capaz de informar sobre todos os riscos e benefícios de um medicamento. Fale sempre com o seu médico antes de tomar qualquer decisão sobre o seu tratamento.





Informações adicionais

Onde posso obter mais informações?

Você pode obter mais informações sobre este estudo nos sites listados abaixo:

- <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>

O título completo deste estudo é: Estudo de duas partes, contínuo, aberto e multicêntrico para investigar a segurança, tolerabilidade, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia do RO7034067 em bebês com atrofia muscular espinhal tipo 1.

O estudo é chamado "**FIREFISH**".

O número do protocolo deste estudo é: BP39056.

O identificador no ClinicalTrials.gov para este estudo é: NCT02913482.

O número EudraCT para este estudo é: 2016-000778-40.

Se você ou o seu filho participaram deste estudo e tiverem alguma dúvida sobre os resultados, fale com o seu médico.

Se ainda assim continuar com dúvidas, fale com um representante do escritório local da Roche.

Endereço do patrocinador deste estudo:

F. Hoffmann-La Roche, Grenzacherstrasse 124 CH-4070, Basileia, Suíça

Documentos anteriores forneceram um resumo dos resultados do estudo **FIREFISH** após as crianças terem completado 1 ano e 2 anos de tratamento com risdiplam.

Clique [aqui](#) para ver o resumo de 1 ano.

Clique [aqui](#) para ver o resumo de 2 anos