

Краткое изложение  
окончательных результатов  
исследования FIREFISH –  
клинического исследования,  
проводимого с целью  
определения эффективности  
и безопасности рисдиплама  
у детей со СМА типа 1



*Полное название исследования представлено в конце документа*

Общая информация об исследовании

Кто мог принять участие в этом исследовании?

Что происходило в ходе исследования?

Каковы результаты исследования?

Какие были побочные эффекты?

Что мы узнали во время этого исследования?

Где я могу получить дополнительную информацию?



## Информация об этом кратком обзоре

Настоящий документ представляет собой краткий обзор результатов клинического исследования (именуемого в этом документе "исследованием"). Он был написан для представителей общественности и людей, принимавших участие в исследовании.

Исследование **FIREFISH** (NCT02913482) началось в декабре 2016 г. и закончилось в декабре 2023 г. Данный краткий обзор исследования был составлен по окончании исследования. Препаратом, который изучали в рамках этого исследования, был риздиплам.

Цели (конечные точки) исследования **FIREFISH** были достигнуты в ноябре 2019 г., когда последний участник исследования завершил 1 год лечения риздипламом. В данном документе приведен краткий обзор окончательных результатов исследования **FIREFISH** после его завершения.

### Данный краткий обзор содержит следующую информацию:

Общая информация об исследовании

Кто мог принять участие в исследовании?

Что происходило в ходе исследования?

Какие результаты получены в исследовании?

Какие были побочные эффекты?

Что мы узнали во время этого исследования?

Где я могу получить дополнительную информацию?

В предыдущих документах была представлена краткая информация о результатах исследования **FIREFISH** после того, как участвовавшие в нем дети завершили 1 год и 2 года лечения риздипламом.

Нажмите [здесь](#), чтобы просмотреть обзор данных за 1 год.

Нажмите [здесь](#), чтобы просмотреть обзор данных за 2 года.



# Что такое СМА?

Спинальная мышечная атрофия (СМА) – редкое генетическое нейромышечное заболевание, которое разрушает управляющие мышцами нервные клетки, называемые мотонейронами.



СМА разрушает управляющие мышцами нервные клетки спинного мозга, называемые мотонейронами.



Потеря мотонейронов вызывает мышечную слабость и потерю движения из-за истощения мышц (атрофии).

Люди, живущие со СМА, испытывают трудности с выполнением основных жизненных функций, включая дыхание и глотание.

Тяжесть СМА у всех разная и зависит от ряда факторов, включая возраст начала проявления симптомов. Существует пять типов СМА, в зависимости от возраста начала проявления симптомов и достижения наивысшего уровня развития физических способностей (например, способности сидеть или ходить).

## Типы СМА

Тип	Возраст начала проявления симптомов	Влияние на мышечные и двигательные способности
0	До рождения	Младенцы не могут активно двигаться в утробе матери и рождаются с сильной мышечной слабостью
1	С рождения до 6 месяцев	Дети никогда не смогут сидеть самостоятельно
2	6–18 месяцев	Дети обычно способны сидеть, а некоторые могут стоять с посторонней помощью, но не могут ходить
3	Начиная с 18 месяцев	Дети могут ходить, но со временем они могут утратить эту способность
4	С 18 лет и старше	Эта форма СМА развивается во взрослом возрасте. Это наименее тяжелый тип СМА.

## Зачем проводилось это исследование?

В начале проведения этого исследования не существовало никаких методов лечения людей со СМА.

Целями новых методов лечения являются устранение основной причины СМА, помощь людям со СМА жить дольше, уменьшение выраженности общих симптомов, сохранение способности двигаться (двигательной функции) и улучшение качества жизни.

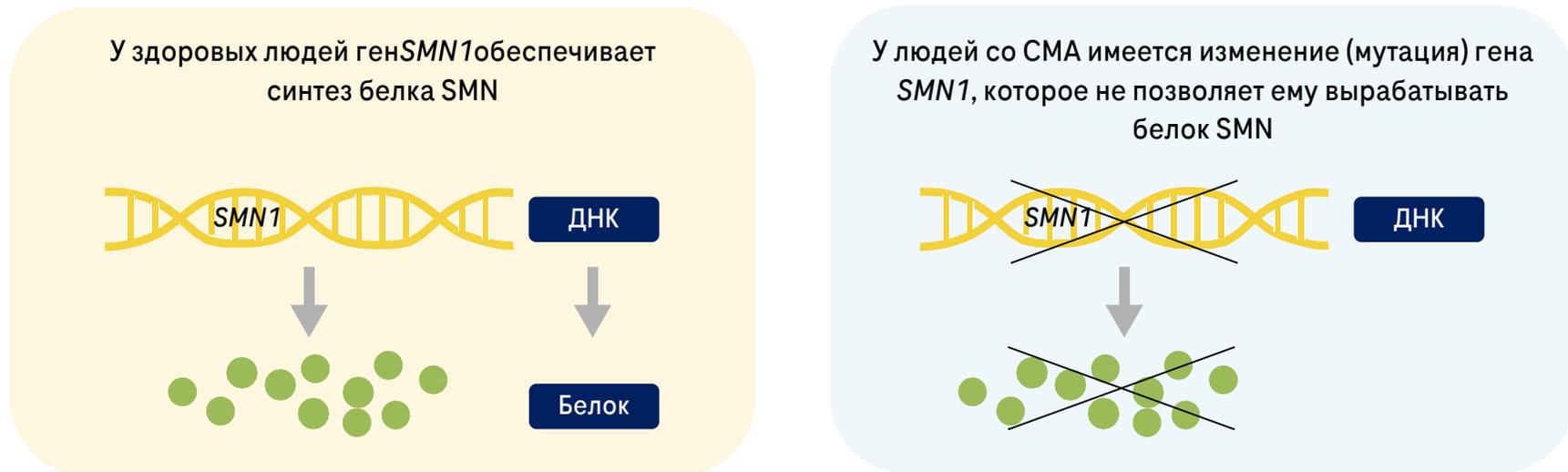
Исследование **FIREFISH** проводилось с целью изучения безопасности и эффективности (насколько хорошо работает лечение) рисдиплама у детей со СМА типа 1, возраст которых на момент включения в исследование составлял от 1 до 7 месяцев.

## Каковы причины СМА? (1/2)

СМА вызывается низким уровнем белка, называемого "белком выживания мотонейронов" (также известного как белок SMN [survival of motor neuron]).

Белок SMN крайне важен для функционирования нервов, управляющих мышцами. При отсутствии достаточного уровня белка SMN эти нервы перестают работать должным образом (дегенерируют) и в конечном итоге отмирают, вызывая слабость и истощение мышц.

Белок SMN в основном вырабатывается геном, называемым "геном выживания мотонейронов 1" (также известным как *SMN1*).



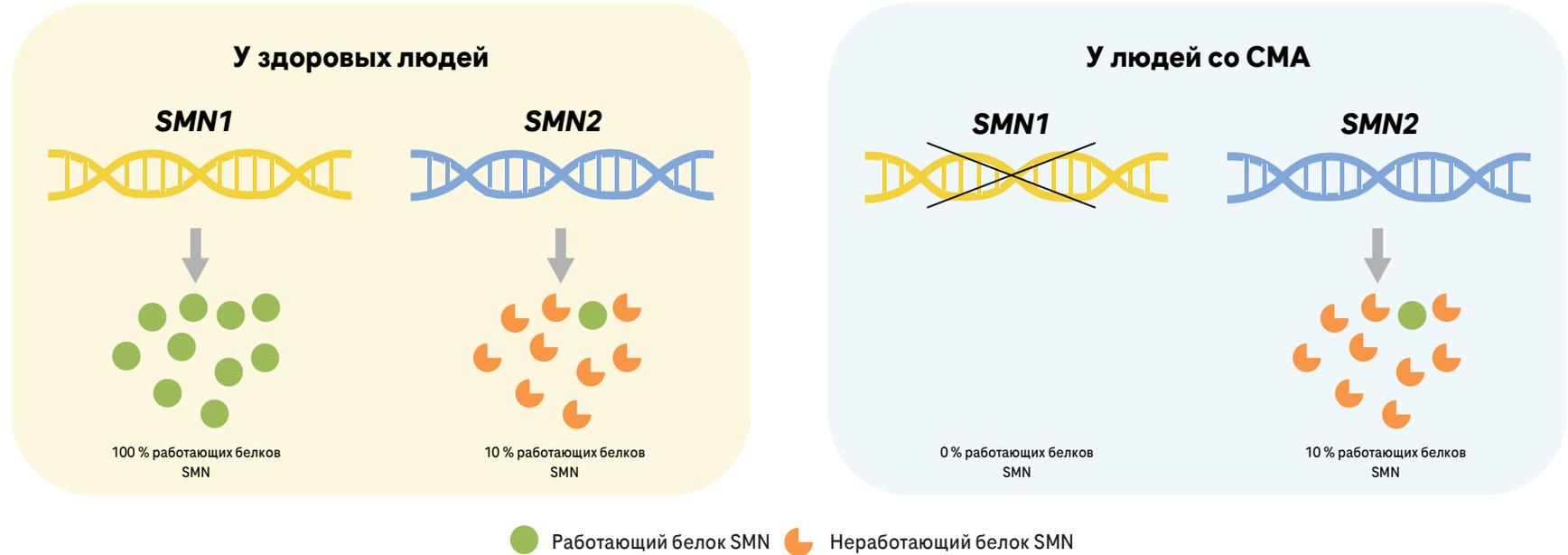
● Работающий белок SMN

## Каковы причины СМА? (2/2)

Люди имеют похожий ген, называемый геном выживания мотонейронов 2 (также известный как *SMN2*), который может выступать в качестве "резервного" гена для выработки белка SMN. Людям со СМА необходимо использовать *SMN2* для выработки белка SMN, поскольку у них нет *SMN1*.

Однако только 1 из 10 (10 %) белков SMN, вырабатываемых *SMN2*, работает правильно. Этого количества белка недостаточно для того, чтобы компенсировать потерю гена *SMN1*.

Чем больше копий гена *SMN2* есть у человека, тем больше белка SMN они могут вырабатывать, что делает симптомы СМА менее тяжелыми.



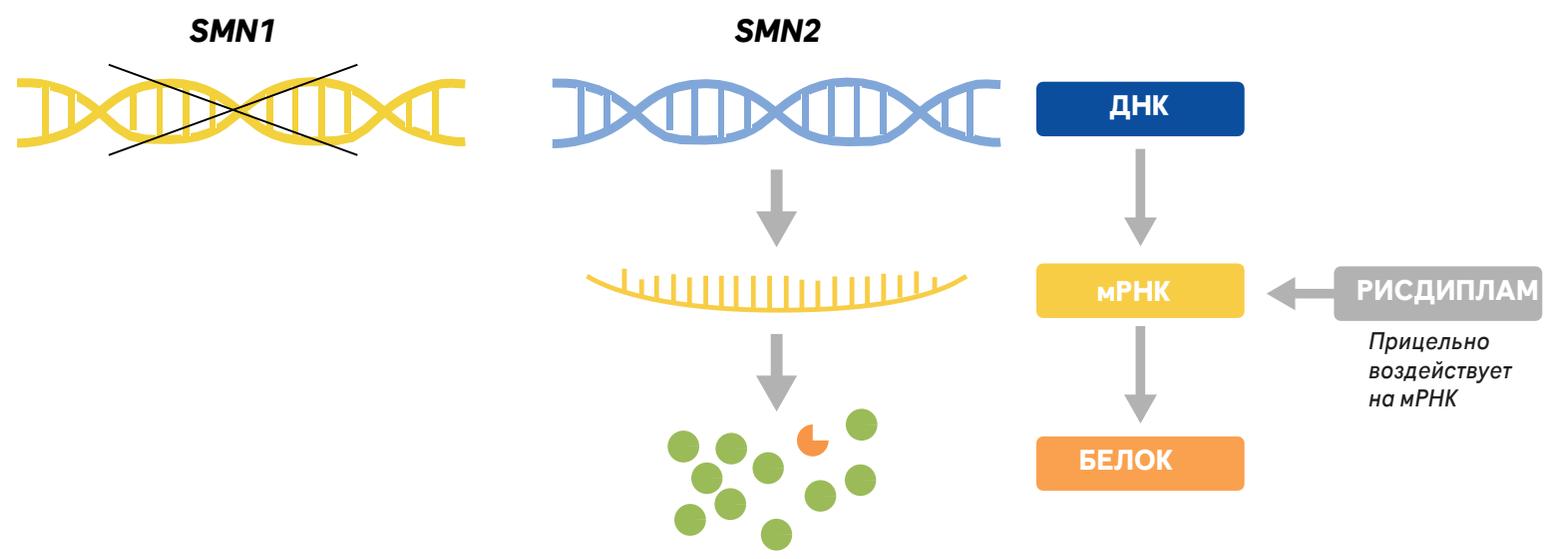
# Что такое рисдиплам и как он действует?

Рисдиплам – это препарат, который изучали в исследовании **FIREFISH**.

Рисдиплам – это жидкость, принимаемая один раз в день через рот (перорально) или через зонд для кормления для тех, кто испытывает трудности с глотанием.

Рисдиплам предназначен для того, чтобы помочь гену *SMN2* вырабатывать больше работающего белка SMN для поддержания и улучшения функции мышц.

Инструкции гена *SMN2* ошибочны, и большая часть вырабатываемого белка SMN не работает. Рисдиплам прицельно воздействует на инструкции (мРНК) гена *SMN2* для выработки большего количества работающего белка SMN.



● Работающий белок SMN    ● Неработающий белок SMN

## Что хотели узнать исследователи?

Целью исследования **FIREFISH** было получение ответов на научные вопросы о рисдипламе.

Для получения информации о действии рисдиплама в исследование было включено несколько показателей оценки результатов (конечных точек).

Конечные точки представляют собой конкретные показатели, используемые исследователями для оценки эффективности исследуемого лечения.

- **Первичные конечные точки** используются для ответа на главный вопрос исследования. Исследование считается успешным, если на определенном этапе исследования наступают данные результаты или события (первичная конечная точка достигнута).
- **Вторичные и поисковые конечные точки** дают больше информации, помогающей понять воздействие исследуемого лечения.

Исследование **FIREFISH** было разделено на две части.



## Что хотели узнать исследователи в Части 1 исследования FIREFISH?

На какой главный вопрос (**первичная конечная точка**) исследователи хотели ответить в **Части 1 исследования FIREFISH** ?

Рекомендуемая доза рисдиплама для лечения младенцев в возрасте от 1 до 7 месяцев со СМА типа 1 для применения в **Части 2 исследования FIREFISH**.

- Для определения дозы исследователи изучили уровни рисдиплама в крови младенцев, участвовавших в исследовании, и определили уровень имевшегося у них белка SMN.
- Выбранная доза должна была быть безопасной и привести к значимому повышению уровня белка SMN.



## Что хотели узнать исследователи в Части 2 исследования FIREFISH?

- Доза риздиплама, определенная в **Части 1 исследования FIREFISH**, была назначена всем младенцам в **Части 2**.
- На какой главный вопрос (**первичная конечная точка**) исследователи хотели ответить в **Части 2 исследования FIREFISH** ?

**Первичной** конечной точкой **Части 2 исследования FIREFISH** было изучение эффективности риздиплама (т.е. определение того, насколько хорошо он действует).

- Для этого оценивали процент детей, которые могли сидеть без поддержки в течение как минимум 5 секунд после 1 года лечения риздипламом.
  - Эта конечная точка была выбрана с учетом того, что дети со СМА типа 1, не получающие лечения, обычно не могут сидеть без поддержки

## Что хотели узнать исследователи в течение всех 5 лет исследования FIREFISH?

- После того как были достигнуты **первичные конечные точки** в **Частях 1 и 2 исследования FIREFISH**, все дети могли продолжать участие в исследовании до 5 лет.
- Каковы были другие важные вопросы (**вторичные и поисковые конечные точки**), на которые хотели ответить исследователи в исследовании **FIREFISH** за весь его 5-летний период?

**Вторичные и поисковые конечные точки** должны были дать ответ на вопросы, сколько детей:

- были живы
- могли питаться через рот
- достигли основных этапов двигательного (моторного) развития
- имели побочные эффекты

## Как исследователи определяли физические способности детей в исследовании FIREFISH?

Физические способности в данном случае показывают, насколько хорошо ребенок может использовать различные части тела для выполнения таких этапов развития, как сидение, стояние и ходьба.

Для оценки состояния детей, получающих риздиплам, в **FIREFISH** использовались различные тесты (результаты).

### Шкалы Бейли для оценки развития младенцев и детей раннего возраста, третье издание (BSID-III)



При помощи шкалы **BSID-III** оценивается, насколько хорошо дети выполняют различные виды деятельности (такие как сидение, стояние и ходьба) по сравнению с другими детьми того же возраста.

**Зачем нужен этот тест?** Это инструмент для диагностики задержки развития у детей в возрасте от 1 до 42 месяцев.

### Неврологическое исследование младенцев по методу клиники Хаммерсмит, модуль 2 (HINE-2)



С помощью шкалы **HINE-2** можно определить, могут ли дети достичь таких этапов моторного развития, как удержание головы, сидение, перекашивание на бок, стояние и ходьба.

**Зачем нужен этот тест?** Этот тест оценивает, может ли ребенок достичь основных этапов двигательного (моторного) развития, соответствующих его возрасту.

Более подробную информацию об этих показателях моторного развития см. в брошюре ["Основные сведения о MFM и SMAIS в контексте оценки результатов при СМА"](#).

BSID-III – шкалы Бейли для оценки развития младенцев и детей раннего возраста, третье издание; HINE-2 – неврологическое исследование младенцев по методу клиники Хаммерсмит, модуль 2; СМА – спинальная мышечная атрофия.

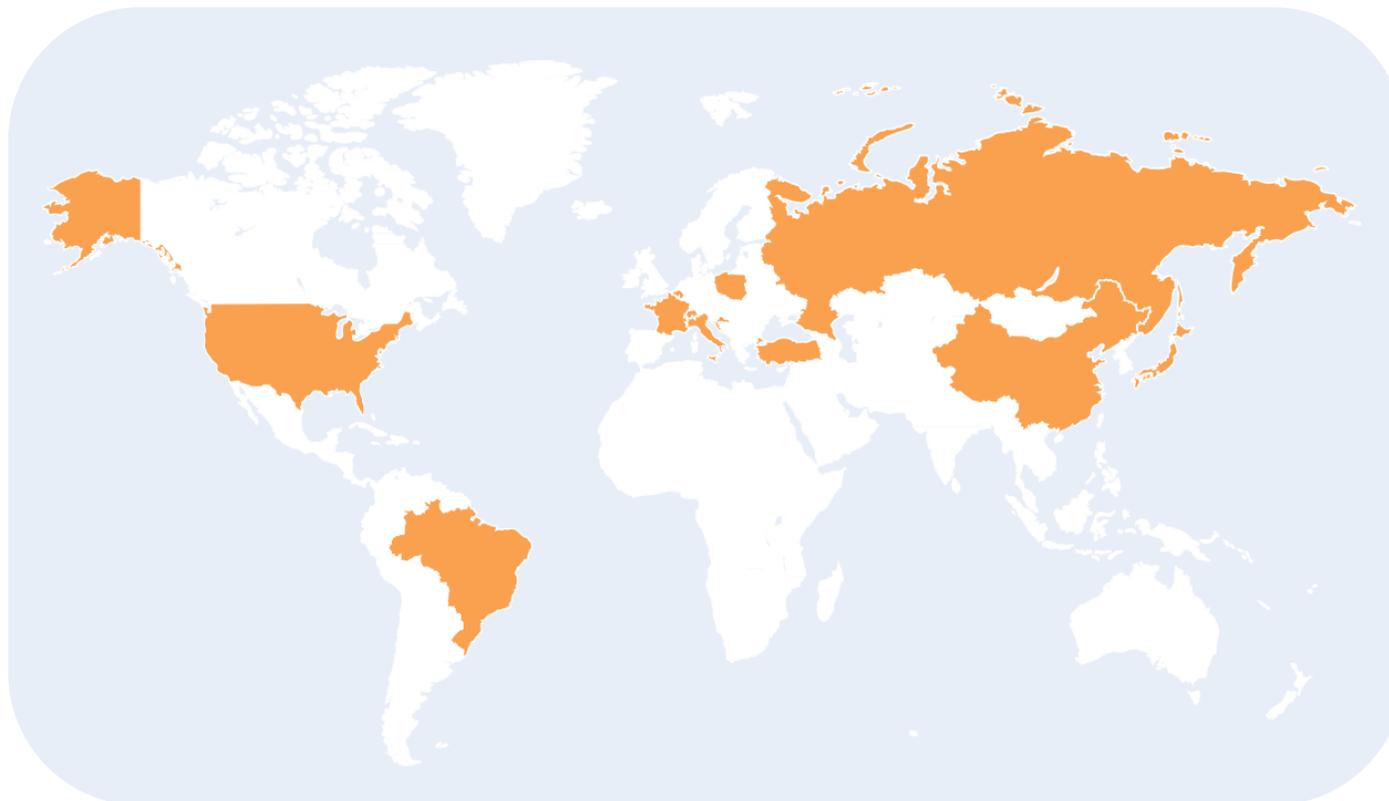
## Когда и где проводилось это исследование?

Исследование **FIREFISH** началось в декабре 2016 г. и закончилось в декабре 2023 г., когда все участвующие дети получали лечение рисдипламом в течение периода до 5 лет. Данный краткий обзор был составлен по окончании исследования.

**FIREFISH** — это международное исследование, которое проводилось в 17 больницах 12 стран. На карте ниже показаны места проведения исследования.

### Страны, в которых проводилось исследование FIREFISH:

- Бельгия
- Бразилия
- Китай
- Хорватия
- Франция
- Италия
- Япония
- Польша
- Россия
- Швейцария
- Турция
- США



## Кто мог принять участие в исследовании?

В исследовании **FIREFISH** участвовали младенцы в возрасте от 1 до 7 месяцев на момент включения в исследование (начала участия в нем). У всех них была диагностирована СМА.

Ниже перечислены основные требования, предъявляемые к младенцам, участвовавшим в исследовании:

Основные критерии включения	Основные критерии исключения
<p><b>Младенцы могли</b> принимать участие в исследовании, если у них:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Возникли симптомы СМА в возрасте от 1 до 3 месяцев</li> <li>• Был проведен тест, который подтвердил, что это СМА (генетический диагноз)</li> <li>• Было две копии гена <i>SMN2</i>.</li> <li>• Было достигнуто восстановление после любого возможного краткосрочного заболевания на момент скрининга в рамках исследования, и их состояние считалось достаточно хорошим для участия в исследовании.</li> </ul>	<p><b>Младенцы не могли</b> принимать участие в исследовании, если они:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Принимали участие в другом клиническом исследовании за последние 3 месяца</li> <li>• Ранее получали медикаментозное лечение по поводу СМА либо генную или клеточную терапию</li> <li>• Нуждались в значительной медицинской поддержке для обеспечения дыхания более 16 часов в сутки</li> <li>• В последнее время сталкивались с чрезвычайными ситуациями, требующими ночного пребывания в больнице, или серьезными заболеваниями, от которых они не полностью оправились</li> </ul>

Полную информацию о критериях включения и исключения можно найти на сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.

## Как было спланировано исследование FIREFISH?

Исследование **FIREFISH** было **открытым** исследованием.

- Слово "**открытое**" в данном случае значит, что все вовлеченные в исследование лица, включая детей, участвовавших в исследовании, их семьи и врачей-исследователей, знали, какое лечение получал участник.
- Все участники исследования получали рисдиплам.
- В основной части исследования участники получали рисдиплам в течение 2 лет.
- После завершения основной части исследования участники могли по своему усмотрению продолжать получать рисдиплам в течение еще 3 лет (этот период назывался открытым дополнительным периодом).

**Исследование FIREFISH** состояло из двух частей.

- **В Части 1** проводилось тестирование различных доз рисдиплама с целью подбора оптимальной дозы для детей со СМА типа 1.
- **В Части 2** оценивали эффективность (насколько хорошо действует лечение) и безопасность рисдиплама у детей со СМА типа 1. Детям, получавшим рисдиплам в Части 2, назначали дозу, определенную в Части 1.

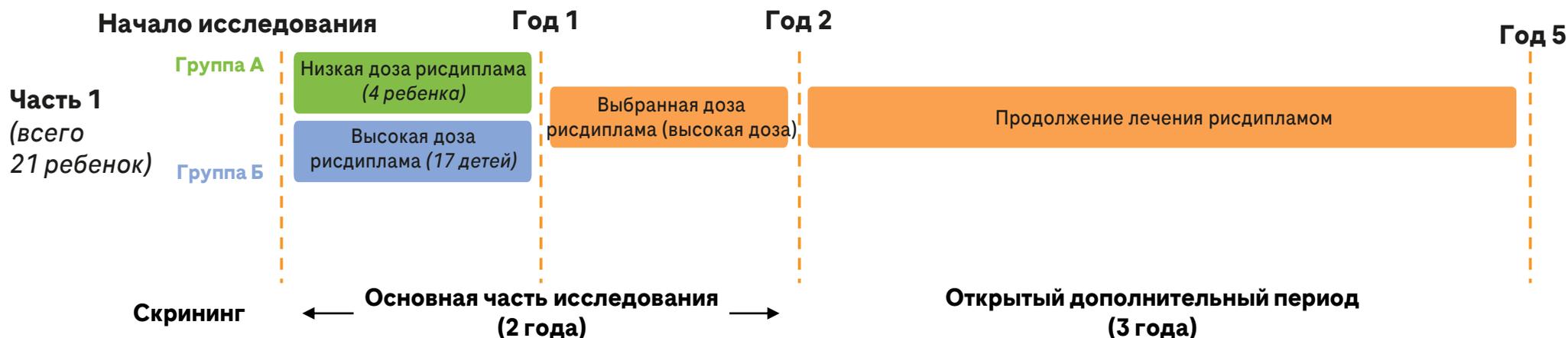
*В Частях 1 и 2 участвовали разные дети, при этом дети, принимавшие участие в Части 1, в Части 2 участия не принимали.*

## Что происходило во время Части 1 исследования FIREFISH?

Часть 1 **исследования FIREFISH** была направлена на подбор наилучшей дозы рисдиплама для детей со СМА типа 1. Эта доза должна была применяться до конца исследования.

Участники были разделены на две группы и получили различные дозы рисдиплама.

- **Группа А** (в общей сложности **4 младенца**) получала **низкую дозу** рисдиплама
- **Группа В** (в общей сложности **17 младенцев**) получала **более высокую дозу** рисдиплама



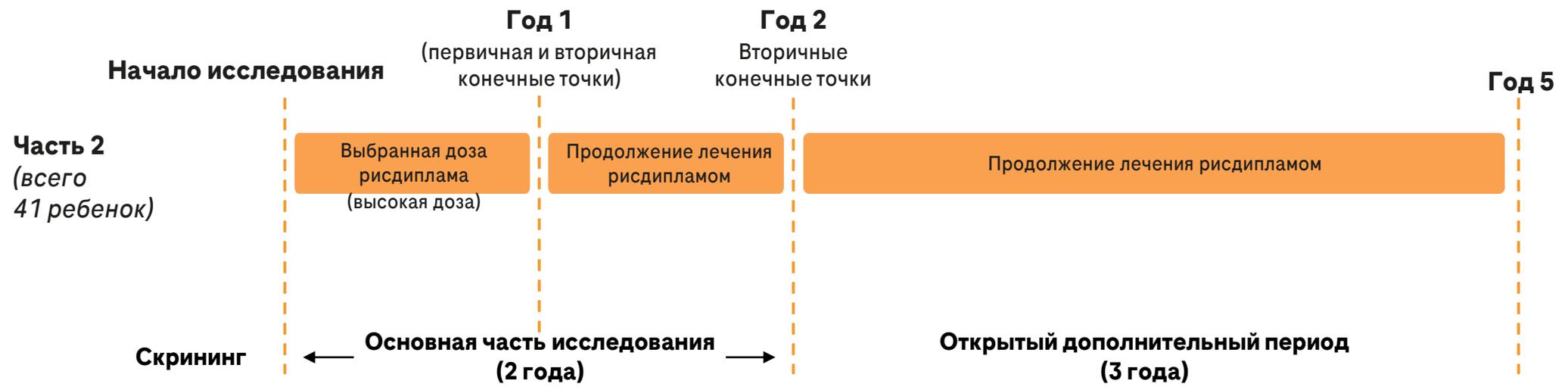
Доза, выбранная в **Части 1 исследования FIREFISH**, применялась в **Части 2** и в течение открытого дополнительного периода.

Четыре ребенка, получавшие низкую дозу препарата рисдиплам, были переведены на высокую дозу через 1 год и могли продолжать участвовать в исследовании до 5 лет.

# Что происходило во время Части 2 исследования FIREFISH?

Целью Части 2 **исследования FIREFISH** было определение того, насколько риздиплам эффективен при лечении детей со СМА типа 1.

- Доза риздиплама, определенная в Части 1 (более высокая доза), назначалась всем детям в Части 2.

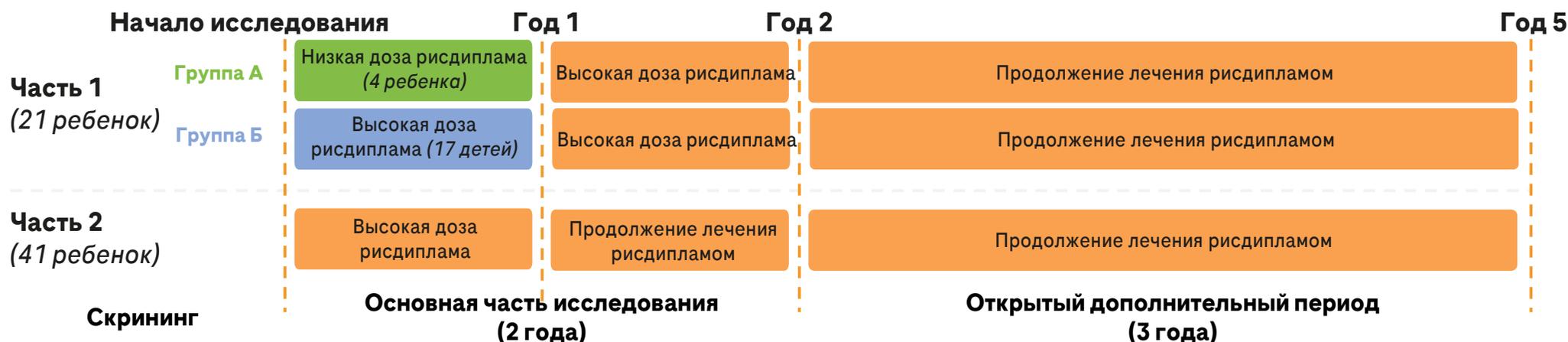


*В Частях 1 и 2 участвовали разные дети, при этом дети, принимавшие участие в Части 1, в Части 2 участия не принимали.*

# Что происходило на протяжении всех 5 лет исследования FIREFISH?

После того как дети, участвовавшие в **Части 1** и **Части 2 исследования FIREFISH**, завершили 2-летнее лечение рисдипламом, они перешли в открытый дополнительный период.

В этой части исследования все дети в течение еще 3 лет получали рисдиплам в высокой дозе.



- Дети, получившие высокую дозу с начала исследования **FIREFISH** (в Группе Б **Части 1** и все дети в **Части 2 исследования FIREFISH**), могут быть объединены в большую группу, которую можно назвать "**сведенной выборкой**".
- Анализ результатов более многочисленной, сведенной выборки предоставляет более веские доказательства, чем при отдельной оценке каждой группы. Это означает, что исследователи могут быть более уверенными в выводах, которые они делают о лечении рисдипламом.

Все 5-летние результаты исследования FIREFISH будут представлены для **сведенной выборки**.

## Каковы были характеристики детей в Частях 1 и 2 исследования FIREFISH до начала лечения?

### В Части 1 принял участие 21 младенец



**29 %**  
(6 из 21 младенца) были мальчиками



**71 %**  
(15 из 21 младенца) были девочками



Средний возраст начала возникновения симптомов составлял 1,9 месяца

**6**

Средний возраст включения в исследование составил 5,8 месяца

### В Части 2 принял участие 41 младенец



**46 %**  
(19 из 41 младенца) были мальчиками



**54 %**  
(22 из 41 младенца) были девочками



Средний возраст начала возникновения симптомов составлял 1,6 месяца

**5**

Средний возраст включения в исследование составил 5,2 месяца

## Каковы были основные результаты Части 1 исследования FIREFISH?

Основным исследуемым вопросом (**первичная конечная точка**) в **Части 1 исследования FIREFISH** было принятие решения о рекомендуемой дозе рисдиплама для лечения детей со СМА типа 1.

- Для применения в Части 2 была выбрана высокая доза рисдиплама, так как она повышает уровень белка SMN, не вызывая серьезных побочных эффектов.
- После выбора дозы для Части 2 все участники **Части 1 исследования FIREFISH** были переведены на получение такой же дозы рисдиплама до окончания исследования.

## Каковы были основные результаты Части 2 исследования FIREFISH?

Основной целью (**первичная конечная точка**) Части 2 исследования **FIREFISH** было изучение эффективности риздиплама (т.е. определение того, насколько хорошо он действует).

Способность сидеть была выбрана как лучший способ определения этого показателя, так как нелеченные дети со СМА типа 1 обычно не достигали этого этапа.

Исследователи изучили результаты после того, как все дети, принимавшие участие в **Части 2 исследования FIREFISH**, завершили 1 год лечения.



Через 1 год исследователи использовали шкалу BSID-III, чтобы оценить, могут ли дети сидеть без поддержки по крайней мере 5 секунд

**29 %**

**(12 из 41 младенца) могли сидеть без поддержки в течение как минимум 5 секунд.**

В предыдущем документе представлена краткая информация о результатах исследования **FIREFISH** после того, как участвовавшие в нем дети завершили 1 год лечения риздипламом. Нажмите [здесь](#), чтобы просмотреть обзор данных за 1 год.

Более подробную информацию о шкале BSID-III см. в брошюре "[Основные сведения о MFM и SMAIS в контексте оценки результатов при СМА](#)".

## Дети в Частях 1 и 2 исследования FIREFISH получали выбранную дозу рисдиплама на протяжении периода до 5 лет.

Исследование **FIREFISH** уже завершено.

Ниже представлены данные об эффективности (насколько хорошо действует рисдиплам) и безопасности (побочных эффектах) в сведенной выборке исследования **FIREFISH** после 5 лет лечения.

Все эти дети получали выбранную, окончательную дозу (т. е. высокую дозу) препарата с начала исследования.

## Каковы были характеристики детей до начала лечения в рамках исследования FIREFISH?

Оценки были выполнены в начале исследования (исходный уровень), до применения рисдиплама.

Эта сведенная выборка включала 17 детей из Части 1 и 41 младенца из Части 2, получавших высокую дозу рисдиплама.

### Сведенная выборка (58 детей)



**43 %**  
(25 из 58 детей)  
были мальчиками



**57 %**  
(33 из 58 детей)  
были девочками

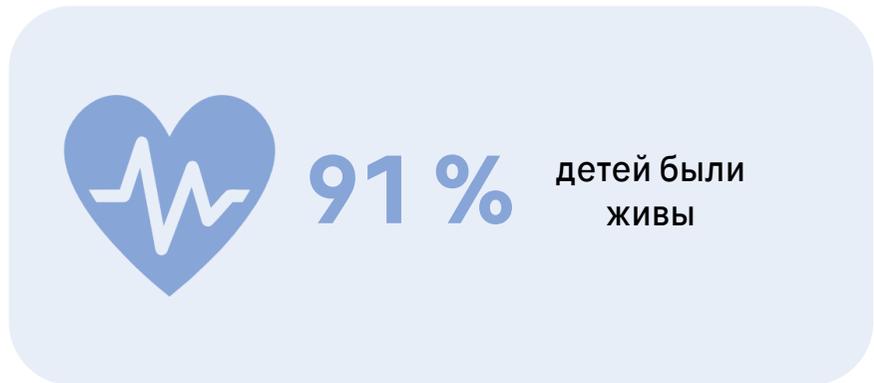
**< 2**

Большинство детей были младше 2 месяцев на момент появления симптомов СМА

**у 38**

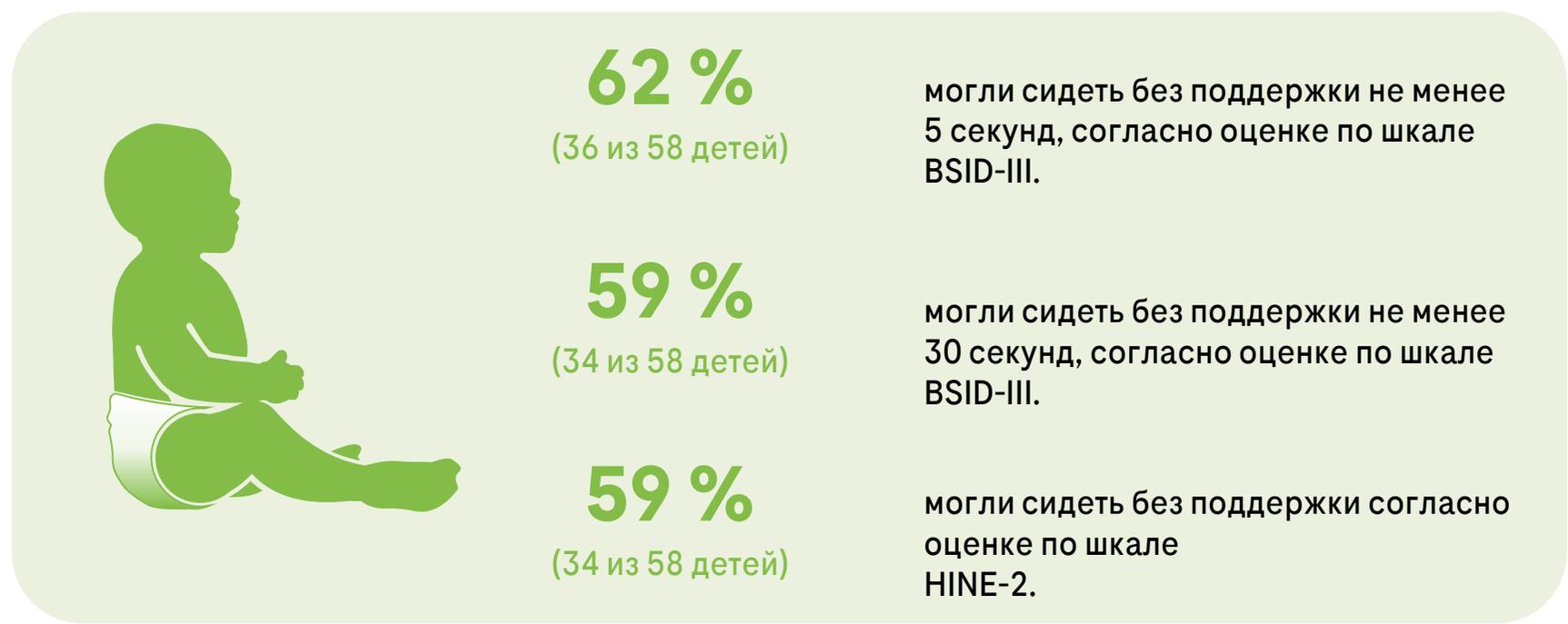
детей (66 %) до начала лечения рисдипламом симптомы СМА были в течение более 3 месяцев

# Каковы были результаты в сведенной выборке после 5 лет лечения?



\*Постоянная поддержка дыхания определяется как **трахеостомия** или **BiPAP** (вентиляция легких с двухфазным положительным давлением) в течение не менее 16 часов в день непрерывно в течение более 3 недель или постоянная **интубация** в течение более 3 недель при отсутствии или после разрешения острого обратимого явления.  
**Трахеостомия** — это процедура, при которой через шею в трахею вводится специальная трубка. Она помогает воздуху попадать в легкие.  
**BiPAP** — это аппарат, который обеспечивает дыхание с применением лицевой маски.  
**Интубация** — это процедура, при которой специальная трубка вставляется через рот и проводится вниз в трахею. Она помогает воздуху попадать в легкие.

## Сколько детей могли сидеть без поддержки после 5 лет лечения рисдипламом ?



Более подробную информацию об этих показателях физических способностей см. в брошюре ["Основные сведения о MFM и SMAIS в контексте оценки результатов при СМА"](#).

BSID-III – шкалы Бейли для оценки развития младенцев и детей раннего возраста, третье издание; HINE-2 – неврологическое исследование младенцев по методу клиники Hammersmith, модуль 2.



## Сколько детей могли стоять и ходить после 5 лет лечения рисдипламом?



Более подробную информацию о показателях моторного развития см. в брошюре ["Основные сведения о MFM и SMAIS в контексте оценки результатов при СМА"](#).

BSID-III – шкалы Бейли для оценки развития младенцев и детей раннего возраста, третье издание; HINE-2 – неврологическое исследование младенцев по методу клиники Hammersmith, модуль 2.



## Сколько детей могли глотать и питаться через рот после 5 лет лечения рисдипламом?



**96 %**

(46 из 48 детей)

могли глотать\*

**91 %**

(42 из 46 детей)

могли питаться  
через рот.

**80 %**

(37 из 46 детей)

могли питаться через  
рот без какой-либо  
поддержки питания.

- При оценке глотания и кормления детей проверялась их способность есть через рот и то, насколько хорошо они могут глотать пищу или напитки.
- Поддержка питания осуществлялась через зонд для кормления.

# Информация о побочных эффектах у детей в исследовании FIREFISH после 5 лет лечения рисдипламом

Исследование **FIREFISH** уже завершено. Дети прошли курс лечения до 5 лет.

Данные о побочных эффектах получены из сведенной выборки исследования **FIREFISH**, в которую вошли все дети из Части 1, получавшие высокую дозу рисдиплама, и все дети из Части 2.

Побочными эффектами являются медицинские проблемы (такие как головокружение или недомогание), которые возникают во время исследования.

Не все побочные эффекты связаны с исследуемым препаратом, некоторые из них возникают случайно. Врачи сообщают компании "Рош" обо всех медицинских проблемах, возникших у людей во время исследования, чтобы можно было выявить закономерности у каждого участника.

Важно знать, что:

- Не у всех участников этого исследования наблюдались все указанные побочные эффекты.
- Побочные эффекты варьировались по степени тяжести от легких до серьезных и могли проявляться у людей по-разному.
- Важно отметить, что описанные здесь побочные эффекты относятся только к одному этому исследованию. Поэтому приведенные здесь побочные эффекты могут отличаться от тех, которые наблюдались в других исследованиях или указаны в инструкции-вкладыше к лекарственному препарату.

Серьезные и распространенные побочные эффекты, зарегистрированные в исследовании **FIREFISH**, перечислены в следующих разделах.

# Каковы были серьезные побочные эффекты в исследовании FIREFISH?

Побочный эффект считается серьезным, если он представляет угрозу для жизни, требует госпитализации или вызывает долгосрочные проблемы.

Не все зарегистрированные серьезные побочные эффекты связаны с исследуемым препаратом.

**У двух детей в исследовании FIREFISH были серьезные побочные эффекты, которые, по мнению врачей-исследователей, были связаны с приемом риздилама.**

**Это были инфекция воздухоносных мешочков (альвеол) в легких (пневмония) и недостаток кислорода в организме (асфиксия).**

Серьезные побочные эффекты были зарегистрированы у 47 из 58 детей (81 %) в исследовании **FIREFISH**.

Здесь перечислены наиболее частые серьезные побочные эффекты.

Каждый из этих побочных эффектов был зарегистрирован не менее чем у четырех детей.

Наиболее частые серьезные побочные эффекты	У какого процента детей был зарегистрирован этот побочный эффект?
Инфекция воздухоносных мешочков в легких (пневмония)	45 % (26 из 58 детей)
Затрудненное дыхание (респираторный дистресс)	10 % (6 из 58 детей)
Легочная инфекция, вызванная вирусом (вирусная пневмония)	9 % (5 из 58 детей)
Недостаток кислорода в организме (дыхательная недостаточность)	7 % (4 из 58 детей)

## Каковы были побочные эффекты в исследовании FIREFISH?

Побочными эффектами являются медицинские проблемы (такие как головокружение или недомогание), которые возникают во время исследования.

Не все побочные эффекты, о которых сообщается, связаны с исследуемым препаратом.

Здесь перечислены наиболее частые побочные эффекты, зарегистрированные в **исследовании FIREFISH**.

Каждый из этих побочных эффектов был зарегистрирован не менее чем у 11 детей.

Наиболее частые побочные эффекты	У какого процента детей был зарегистрирован этот побочный эффект?
Инфекция носа, горла и пазух ( <i>инфекция верхних дыхательных путей</i> ) Лихорадка ( <i>пирексия</i> )	<b>64 %</b> (37 из 58 детей)
Инфекция воздухоносных мешочков в легких ( <i>пневмония</i> )	<b>50 %</b> (29 из 58 детей)
Воспаление носа и горла ( <i>назофарингит</i> ) Диарея	<b>28 %</b> (16 из 58 детей)
Запор	<b>26 %</b> (15 из 58 детей)
Тошнота (рвота) Кашель COVID-19 Насморк или заложенность носа, чихание ( <i>ринит</i> )	<b>21 %</b> (12 из 58 детей)
Воспаление дыхательных путей в легких ( <i>бронхит</i> ) Инфекция носа, горла и дыхательных путей ( <i>инфекция дыхательных путей</i> )	<b>19 %</b> (11 из 58 детей)

# Какие побочные эффекты были связаны с лечением рисдипламом?

В исследовании **FIREFISH** врачи зарегистрировали побочные эффекты, которые предположительно были связаны с рисдипламом, у 11 из 58 детей (19 %).

Здесь перечислены наиболее частые побочные эффекты, связанные с приемом рисдиплама.

Каждый из этих побочных эффектов был зарегистрирован не менее чем у двоих детей.

Наиболее частые побочные эффекты, связанные с лечением рисдипламом	У какого процента детей был зарегистрирован этот побочный эффект?
Кровь в моче ( <i>гематурия</i> )	5 % (3 из 58 детей)
Инфекция воздухоносных мешочков в легких ( <i>пневмония</i> )	3 % (2 из 58 детей)
Запор	3 % (2 из 58 детей)
Инфекция мочевыводящих путей	3 % (2 из 58 детей)
Изменение цвета кожи	3 % (2 из 58 детей)
Плоские красные участки на коже, покрытые мелкими приподнятыми образованиями ( <i>макулопапулезная сыпь</i> )	3 % (2 из 58 детей)

## Как это исследование помогло людям, живущим со СМА, и исследователям?

Для такого заболевания, как СМА, в лечении которого остаются пробелы и не удовлетворены потребности пациентов, изучение возможных новых препаратов и различных способов применения (например, рисдиплама – единственного одобренного перорального препарата для лечения СМА) важно для улучшения результатов лечения и ухода за пациентами.

Результаты исследования **FIREFISH** позволили ученым и людям, живущим со СМА, лучше понять влияние рисдиплама на людей со СМА типа 1.

Исследования рисдиплама продолжаются, и планируется проведение дальнейших исследований.

Полученные результаты позволили подобрать наиболее эффективную дозу рисдиплама для детей со СМА типа 1 и способствовали одобрению рисдиплама органами здравоохранения для лечения СМА.

Рисдиплам одобрен Управлением по контролю качества продуктов и лекарственных средств США (Food & Drug Administration, FDA) для лечения СМА у взрослых и детей.

Рисдиплам одобрен Европейской комиссией по лечению СМА у пациентов с СМА типа 1, типа 2 или типа 3 или с копиями гена *SMN2* в количестве от одной до четырех.

В данный краткий обзор вошли результаты всего исследования **FIREFISH**. Дети получали лечение рисдипламом в течение периода до 5 лет.

Эти результаты важны для понимания профиля безопасности рисдиплама при лечении детей со СМА типа 1.

Ни одно исследование не может рассказать нам все о рисках и пользе лекарственного препарата. Всегда консультируйтесь с врачом, прежде чем принимать какие-либо решения относительно лечения.

Общая информация об исследовании

Кто мог принять участие в этом исследовании?

Что происходило в ходе исследования?

Каковы результаты исследования?

Какие были побочные эффекты?

Что мы узнали во время этого исследования?

Где я могу получить дополнительную информацию?



## Дополнительная информация

### Где я могу получить дополнительную информацию?

Дополнительную информацию об этом исследовании можно найти на сайтах, указанных ниже:

- <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>

Полное название этого исследования: Открытое многоцентровое исследование с непрерывным дизайном, состоящее из двух частей, по оценке безопасности, переносимости, фармакокинетики, фармакодинамики и эффективности препарата RO7034067 у детей со спинальной мышечной атрофией типа 1.

Это исследование также называется "**FIREFISH**".

Номер протокола этого исследования: BP39056.

Идентификационный номер исследования на веб-сайте ClinicalTrials.gov: NCT02913482.

Номер этого исследования в EudraCT: 2016-000778-40.

Если Вы или Ваш ребенок принимали участие в этом исследовании и у Вас есть вопросы о его результатах, обращайтесь к своему врачу.

Если у Вас остались вопросы, обратитесь к представителю компании «Рош» в Вашем регионе.

Адрес спонсора этого исследования:

F. Hoffmann-La Roche Grenzacherstrasse 124 CH-4070 Basel, Switzerland (Швейцария)

В предыдущих документах была представлена краткая информация о результатах исследования **FIREFISH** после того, как дети завершили 1 год и 2 года лечения рисдипламом.

Нажмите [здесь](#), чтобы просмотреть обзор данных за 1 год.

Нажмите [здесь](#), чтобы просмотреть обзор данных за 2 года.

