

Rezime konačnih rezultata
studije FIREFISH, kliničkog
ispitivanja za utvrđivanje
efikasnosti i bezbednosti
risdiplama kod dece sa
SMA tipa 1



Pun naziv studije potražite na kraju dokumenta

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Osnovne informacije o ovom rezimeu

Ovo je rezime rezultata kliničkog ispitivanja (koje se u ovom dokumentu naziva „studija”). Napisan je za pripadnike javnosti i za osobe koje su učestvovala u studiji.

Studija **FIREFISH** (NCT02913482) počela je u decembru 2016, a završila se u decembru 2023. Ovaj rezime je napisan nakon završetka studije. Lek koji je ispitivan u ovoj studiji bio je risdiplam.

Studija **FIREFISH** je ispunila svoje ciljeve (krajnje tačke) u novembru 2019, kada je poslednji učesnik koji je uključen u studiju završio 1 godinu terapije risdiplamom. U ovom dokumentu dat je rezime konačnih rezultata studije **FIREFISH** nakon njenog završetka.

Ovaj rezime sadrži sledeće informacije:

Opšte informacije o studiji

Ko je mogao da učestvuje u studiji?

Šta se događalo tokom studije?

Koji su bili rezultati studije?

Koja su bila neželjena dejstva?

Šta smo saznali iz studije?

Gde mogu da pronađem dodatne informacije?

U prethodnim dokumentima dat je rezime rezultata studije **FIREFISH** nakon što su deca završila 1 godinu i 2 godine terapije risdiplamom.

Kliknite [ovde](#) da biste videli rezime studije nakon 1 godine.

Kliknite [ovde](#) da biste videli rezime studije nakon 2 godine.



Šta je SMA?

Spinalna mišićna atrofija (SMA) je redak genetski neuromišićni poremećaj koji uništava nervne ćelije koje kontrolišu mišiće i koje se nazivaju motorni neuroni.



SMA uništava nervne ćelije u kičmenoj moždini koje kontrolišu mišiće i koje se nazivaju motorni neuroni.



Gubitak motornih neurona izaziva mišićnu slabost i gubitak sposobnosti kretanja usled propadanja mišića (atrofija).

Osobe koje žive sa SMA imaju poteškoća u obavljanju osnovnih životnih funkcija, uključujući disanje i gutanje.

Ozbiljnost SMA se razlikuje kod različitih osoba i zavisi od niza faktora, uključujući uzrast u kojem se simptomi jave. Postoji pet tipova SMA, u zavisnosti od uzrasta u kojem se simptomi jave i najvišeg postignutog fizičkog cilja (kao što je sposobnost sedenja ili hodanja).

Tipovi SMA

Tip	Uzrast u kojem se simptomi jave	Dejstva na mišićnu i motoričku sposobnost
0	Pre rođenja	Bebe se ne kreću aktivno u materici i rađaju se sa ozbiljnom slabošću mišića
1	Od rođenja do 6 meseci	Deca nikada neće moći da sede samostalno
2	Od 6 do 18 meseci	Deca obično mogu da sede, neka mogu i da stoje uz tuđu pomoć, ali ne mogu da hodaju
3	Od 18 meseci nadalje	Deca mogu da hodaju, ali vremenom mogu izgubiti ovu sposobnost
4	Od 18 godina nadalje	Ovaj oblik SMA se javlja u odraslom dobu. Ovo je najblaži tip SMA.

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Zašto je ova studija sprovedena?

Kada je ova studija počela, nije bilo dostupnih terapija za osobe obolele od SMA.

Ciljevi novih terapija su lečenje osnovnog uzroka SMA, omogućavanje osobama sa SMA da žive duže, smanjenje sveopštih simptoma, održavanje sposobnosti osobe da se kreće (motorička funkcija) i poboljšanje kvaliteta života.

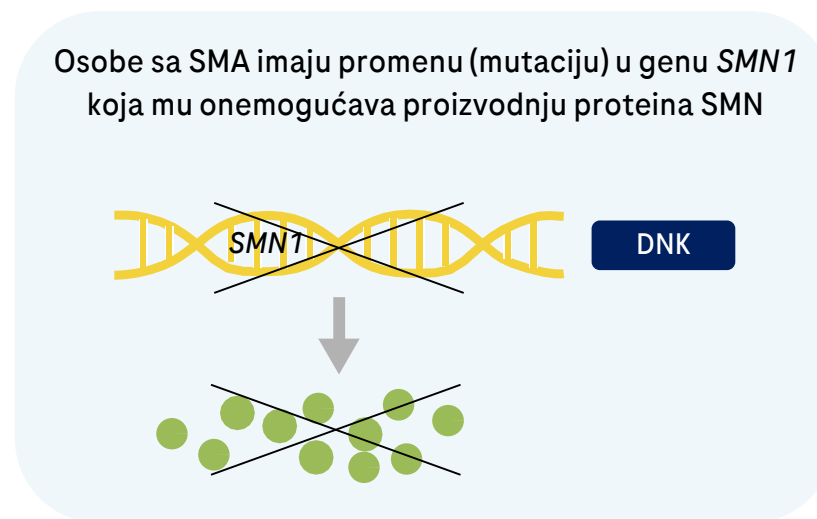
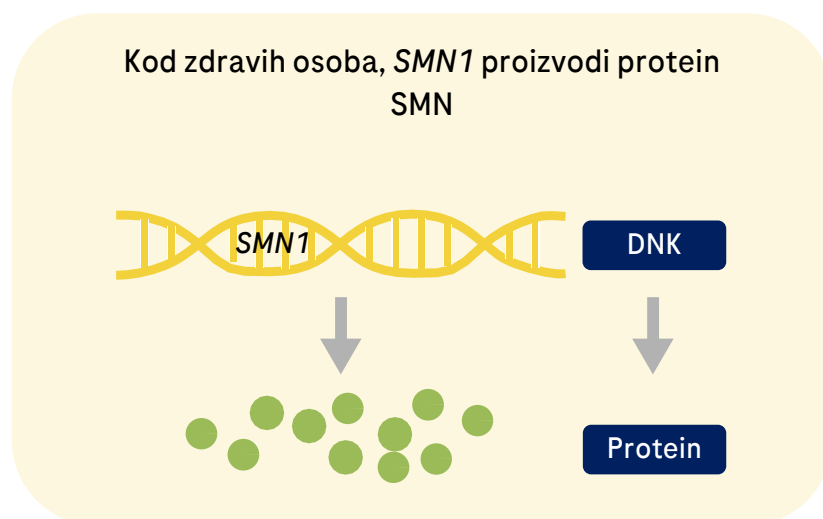
Studija **FIREFISH** je sprovedena da bi se razumele bezbednost i efikasnost (delotvornost terapije) risdiplama kod beba sa SMA tipa 1, uzrasta od 1 do 7 meseci u trenutku uključivanja u studiju.

Šta izaziva SMA? (1/2)

SMA izazivaju niski nivoi proteina koji se naziva „opstanak motornog neurona” (poznat i kao protein SMN).

Protein SMN je od ključnog značaja za funkciju nerava koji kontrolišu mišiće. Bez dovoljno visokih nivoa proteina SMN, ovi nervi prestaju ispravno da funkcionišu (degenerišu se) i na kraju odumiru, čime dovode do toga da mišići postaju slabi i propadaju.

Protein SMN uglavnom proizvodi gen koji se naziva „opstanak motornog neurona 1” (poznat i kao *SMN1*).



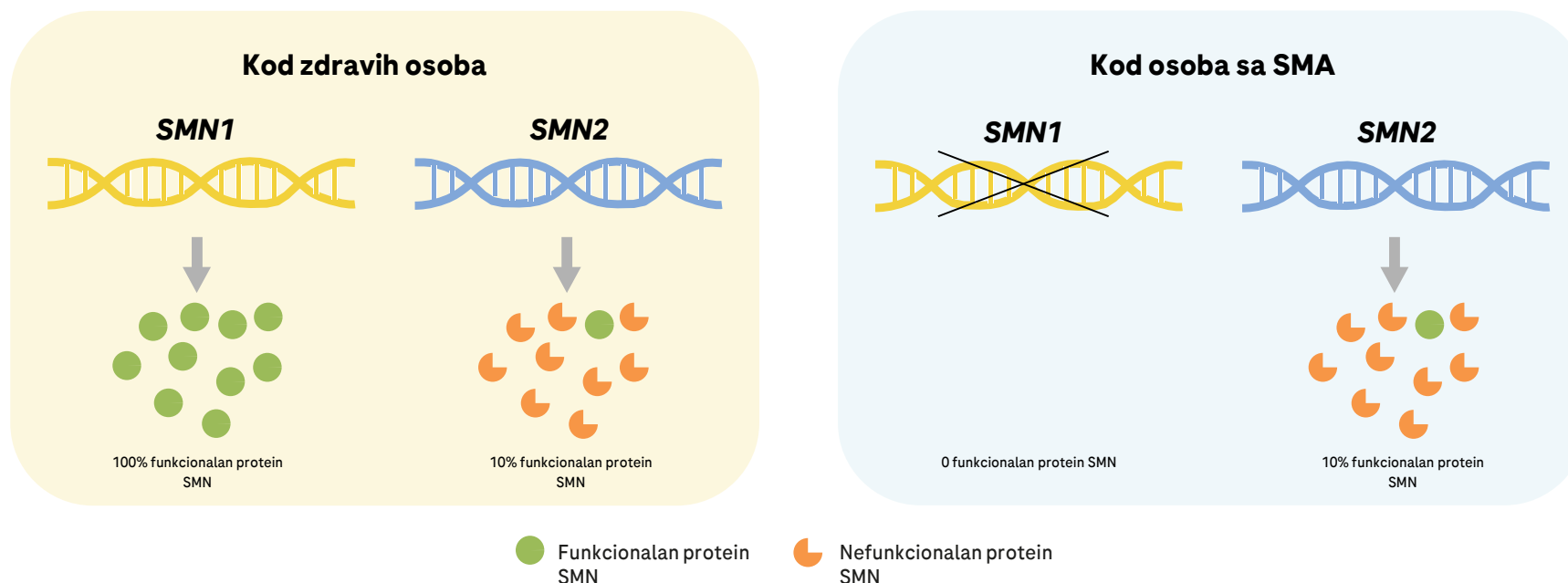
Funkcionalan protein SMN

Šta izaziva SMA? (2/2)

Ljudi imaju sličan gen koji se naziva opstanak motornog neurona 2 (poznat i kao *SMN2*), koji može da deluje kao „rezervni” gen za proizvodnju proteina SMN. Osobe sa SMA moraju da koriste *SMN2* za proizvodnju proteina SMN jer nemaju *SMN1*.

Međutim, samo oko 1 od 10 (10%) proteina SMN koje proizvodi *SMN2* funkcioniše ispravno. To nije dovoljno proteina da nadoknadi nedostatak gena *SMN1*.

Što više kopija gena *SMN2* osoba ima, to više proteina SMN može da proizvede, što simptome SMA čini manje ozbiljnim.



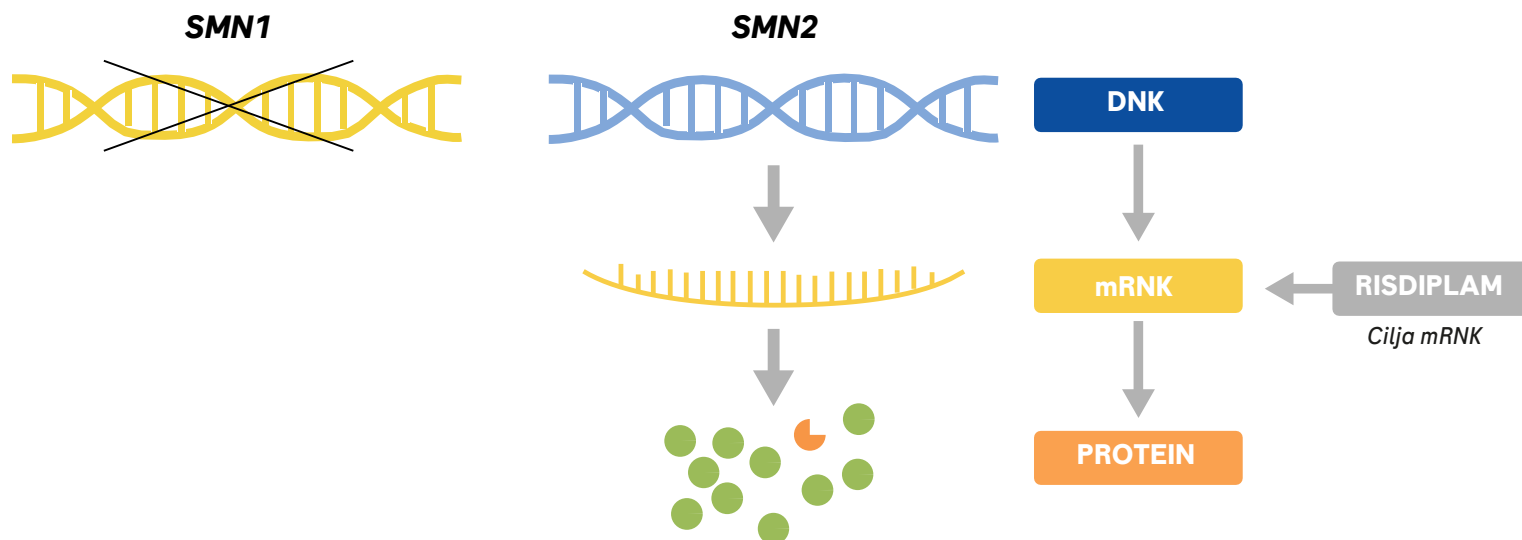
Šta je risdiplam i kako funkcioniše?

Risdiplam je lek koji je ispitivan u studiji **FIREFISH**.

Risdiplam je tečnost koja se pije jednom dnevno (uzima se oralno) ili putem tubusa za hranjenje kod osoba sa otežanim gutanjem.

Risdiplam je formulisan tako da pomogne genu *SMN2* da proizvodi više funkcionalnog proteina SMN radi održavanja i poboljšanja funkcije mišića.

Uputstva od gena *SMN2* su neispravna, a većina proizvedenog proteina SMN nije funkcionalna. Risdiplam cilja uputstva (mRNK) od gena *SMN2* radi proizvodnje više proteina SMN koji funkcioniše.



● Funkcionalan protein SMN

● Nefunkcionalan protein SMN



Šta su istraživači želeli da saznaju?

Studija **FIREFISH** je imala za cilj da odgovori na pitanja istraživača o risdiplamu.

Da bi se razumela dejstva risdiplama, studija je uključivala nekoliko mera ishoda (krajnjih tačaka).

Krajnje tačke su specifične mere koje istraživači koriste da bi procenili dejstva studijske terapije.

- **Primarne krajnje tačke** se koriste za odgovaranje na glavno istraživačko pitanje studije. Studija se smatra uspešnom ako se ovi ishodi ili događaji dese u određenoj tački studije (primarna krajnja tačka je dostignuta).
- **Sekundarne i istraživačke krajnje tačke** pružaju dodatne informacije kako bi istraživači razumeli dejstva terapije koja se proučava.

Studija **FIREFISH** je bila podeljena na dva dela.

Šta su istraživači želeli da saznaju u 1. delu studije FIREFISH?

Koje je bilo glavno pitanje (**primarna krajnja tačka**) na koje su istraživači želeli da odgovore u **1. delu studije FIREFISH**?

Preporučena doza risdiplama za lečenje beba uzrasta od 1 do 7 meseci sa SMA tipa 1 za primenu u **2. delu studije FIREFISH**.

- Da bi to izmerili, istraživači su posmatrali nivo risdiplama u krvi beba u studiji i merili koliko proteina SMN imaju.
- Izabrana doza je morala da bude bezbedna i da dovede do značajnog povećanja nivoa proteina SMN.

Šta su istraživači želeli da saznaju u 2. delu studije FIREFISH?

- Doza risdiplama odabrana u **1. delu studije FIREFISH** davana je svim bebama u **2. delu**.
- Koje je bilo glavno pitanje (**primarna krajnja tačka**) na koje su istraživači želeli da odgovore u **2. delu studije FIREFISH**?

Primarna krajnja tačka 2. dela studije FIREFISH bila je da se ispita efikasnost risdiplama (tj. u kojoj meri risdiplam deluje).

- To je ocenjeno kao procenat dece koja su nakon 1 godine lečenja risdiplamom mogla da sede bez podrške najmanje 5 sekundi.
 - Ova krajnja tačka je izabrana jer deca sa SMA tipa 1 koja ne primaju terapiju obično ne mogu da sede bez podrške.

Šta su istraživači želeli da saznaju tokom cele 5-godišnje studije FIREFISH?

- Nakon što su **primarne krajnje tačke** dostignute u **1. i 2. delu studije FIREFISH**, sva deca su mogla da nastave učešće u studiji najduže 5 godina.
- Koja su bila druga važna pitanja (**sekundarne i istraživačke krajnje tačke**) na koja su istraživači želeli da odgovore u **studiji FIREFISH** tokom celog 5-godišnjeg perioda?

Sekundarne i istraživačke krajnje tačke su se koristile da bi se ispitalo koliko je dece:

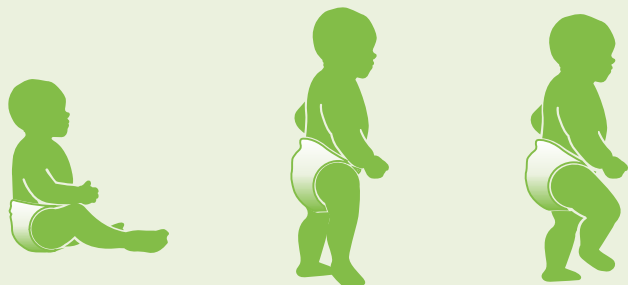
- bilo živo
- bilo sposobno da uzima hranu na usta
- ostvarilo ciljeve u pogledu kretanja (motorike)
- imalo neželjena dejstva

Kako su istraživači merili fizičku sposobnost dece u studiji FIREFISH?

Fizička sposobnost se odnosi na to koliko dobro dete može da koristi različite delove tela za ostvarivanje ciljeva kao što su sedenje, stajanje i hodanje.

U **studiji FIREFISH** su korišćeni različiti testovi (ishodi) za procenu dece koja su primala risdiplam.

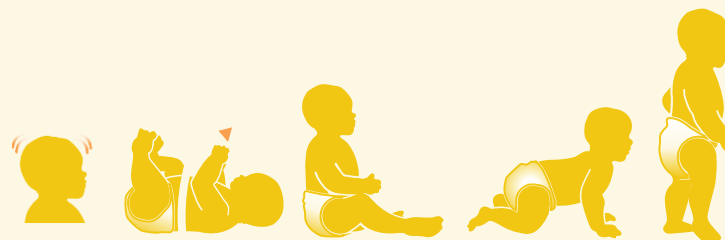
Bejljeve skale za procenu razvoja odojčadi i male dece, treće izdanje (BSID-III)



BSID-III meri koliko dobro deca obavljaju različite aktivnosti (kao što su sedenje, stajanje i hodanje) u poređenju sa drugom decom istog uzrasta.

Zašto ovaj test? To je sredstvo za dijagnostikovanje kašnjenja u razvoju kod dece uzrasta od 1 do 42 meseca.

Hamersmitov neurološki pregled odojčadi, modul 2 (HINE-2)



HINE-2 meri da li deca mogu da postignu ciljeve kao što su držanje glave, sedenje, valjanje, stajanje i hodanje.

Zašto ovaj test? Ovim testom se procenjuje da li dete može da ostvari ciljeve u pogledu kretanja (motorike) koji odgovaraju njegovom uzrastu.

Više informacija o ovim merama pokretljivosti potražite u brošuri „[Understanding the MFM and the SMAIS in the context of outcome measurements in SMA](#)” (Objašnjenje skala MFM i SMAIS u kontekstu merenja ishoda kod SMA).

BSID-III, Bejljeve skale za procenu razvoja odojčadi i male dece, treće izdanje; HINE-2, Hamersmitov neurološki pregled odojčadi, modul 2; SMA, spinalna mišićna atrofija.

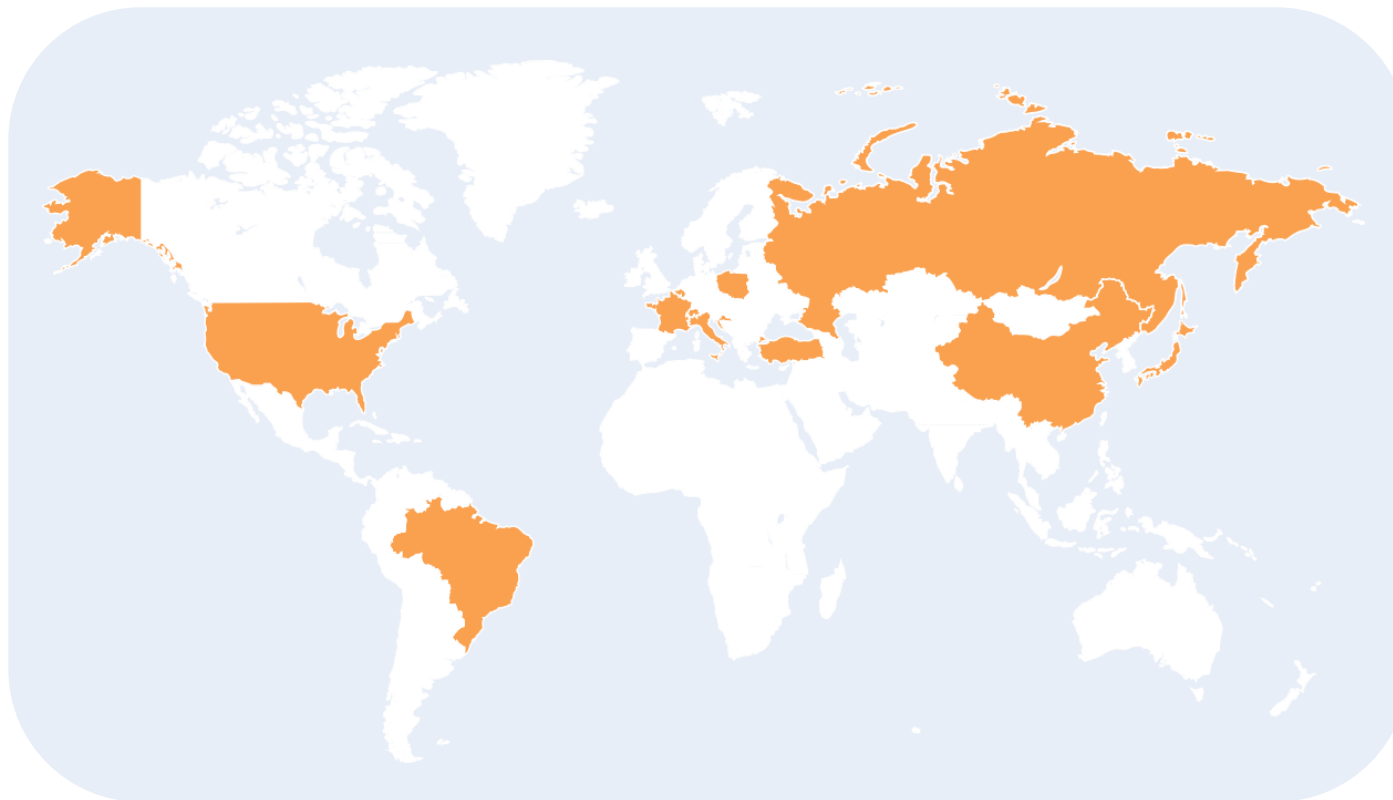
Kada i gde se ova studija sprovodila?

Studija **FIREFISH** je počela u decembru 2016, a završila se u decembru 2023, kada su sva deca koja su učestvovala završila najviše 5 godina terapije risdiplamom. Ovaj rezime je napisan nakon završetka studije.

Studija FIREFISH je bila globalna studija koja se sprovodila u 17 bolnica u 12 zemalja. Na mapi u nastavku je prikazano gde se studija sprovodila.

Zemlje u kojima se sprovodila studija FIREFISH su:

- Belgija
- Brazil
- Kina
- Hrvatska
- Francuska
- Italija
- Japan
- Poljska
- Rusija
- Švajcarska
- Turska
- SAD



Ko je mogao da učestvuje u studiji?

U **studiji FIREFISH** učestvovala su bebe koje su u trenutku uključivanja (ulaska) u studiju imale između 1 i 7 meseci. Sve su imale dijagnozu SMA.

Glavni zahtevi za učešće beba u studiji bili su:

Glavni kriterijumi za uključivanje	Glavni kriterijumi za neuključivanje
<p>Bebe su mogle da učestvuju u studiji ako ispunjavaju sledeće uslove:</p> <ul style="list-style-type: none">• Simptomi SMA su se pojavili u uzrastu od 1 do 3 meseca• Urađen im je test koji je potvrdio da se radi o SMA (genetska dijagnoza)• Imale su dve kopije gena <i>SMN2</i>• U vreme skrininga za studiju oporavile su se od eventualne kratkoročne bolesti i smatralo se da su dovoljno dobro da mogu da učestvuju	<p>Bebe nisu mogle da učestvuju u studiji ako su ispunjavale sledeće uslove:</p> <ul style="list-style-type: none">• Učestvovala su u nekom drugom kliničkom ispitivanju u prethodna 3 meseca• Ranije su dobijale lekove protiv SMA ili gensku, odnosno ćelijsku terapiju• Bila im je potrebna znatna medicinska pomoć prilikom disanja duže od 16 sati dnevno• Nedavno su imale hitna stanja koja su zahtevala da ostanu u bolnici ili ozbiljne bolesti od kojih se nisu u potpunosti oporavile

Sve pojedinosti o kriterijumima za uključivanje/neuključivanje mogu se pronaći na: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.

Kako je studija FIREFISH koncipirana?

Studija FIREFISH je bila „**otvorena**” studija:

- „**Otvorena**” znači da su svi koji su učestvovali u studiji, uključujući decu koja su učestvovala, njihove porodice i studijski lekari, znali koju terapiju učesnik dobija.
- Svi koji su učestvovali u studiji primali su risdiplam.
- Učesnici su u glavnom delu studije primali risdiplam tokom 2 godine.
- Kada je glavni deo studije završen, učesnici su mogli da izaberu da nastave da primaju risdiplam još 3 godine (taj period se naziva otvoreni produžetak studije).

Studija FIREFISH je koncipirana tako da se sastoji od dva dela:

- **U 1. delu** su ispitivane različite doze risdiplama kako bi se utvrdila najbolja doza za bebe sa SMA tipa 1.
- **U 2. delu** su merene efikasnost (u kojoj meri terapija deluje) i bezbednost risdiplama kod beba sa SMA tipa 1. Bebe koje su dobijale risdiplam u 2. delu dobijale su dozu odabranu u 1. delu.

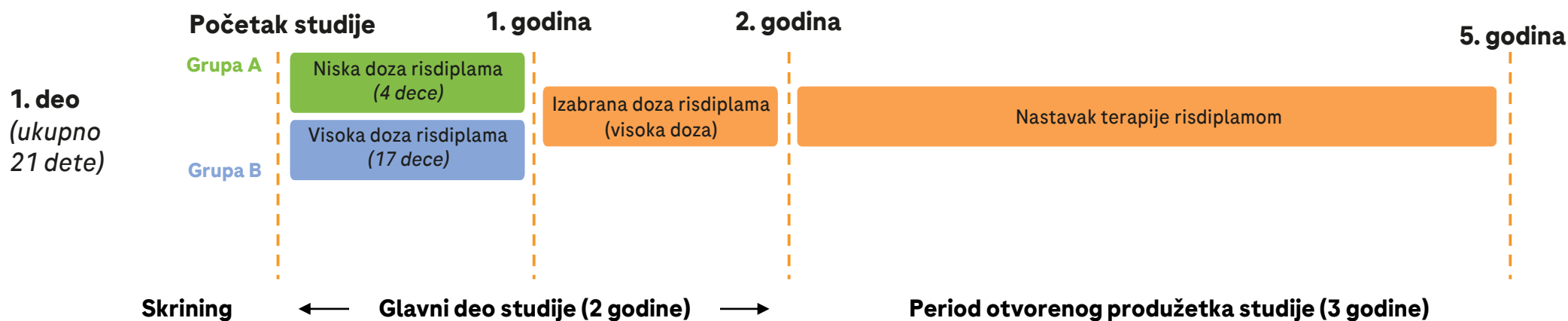
U 1. i 2. delu učestvovala su različita deca – ona koja su učestvovala u 1. delu nisu učestvovala u 2. delu.

Šta se dešavalo tokom 1. dela studije FIREFISH?

Cilj 1. dela studije FIREFISH bio je se utvrdi najbolja doza risdiplama za bebe sa SMA tipa 1. Ta doza je trebalo da se koristi u ostatku studije.

Učesnici su bili podeljeni u dve grupe i dobijali su različite doze risdiplama.

- **Grupa A** (ukupno **4 bebe**) dobijala je **nisku dozu** risdiplama
- **Grupa B** (ukupno **17 beba**) dobijala je **višu dozu** risdiplama



Doza izabrana u **1. delu** studije **FIREFISH** korišćena je u **2. delu** i u periodu otvorenog produžetka.

Četvoro dece koja su primala nisku dozu risdiplama prešlo je na visoku dozu posle 1 godine i moglo je da nastavi učešće u ispitivanju najduže 5 godina.

Šta se dešavalo tokom 2. dela studije FIREFISH?

Cilj 2. dela **studije FIREFISH** bio je da se sazna koliko je risdiplam efikasan u lečenju beba sa SMA tipa 1.

- Dozu risdiplama izabranu u 1. delu (viša doza) dobijale su sve bebe u 2. delu.

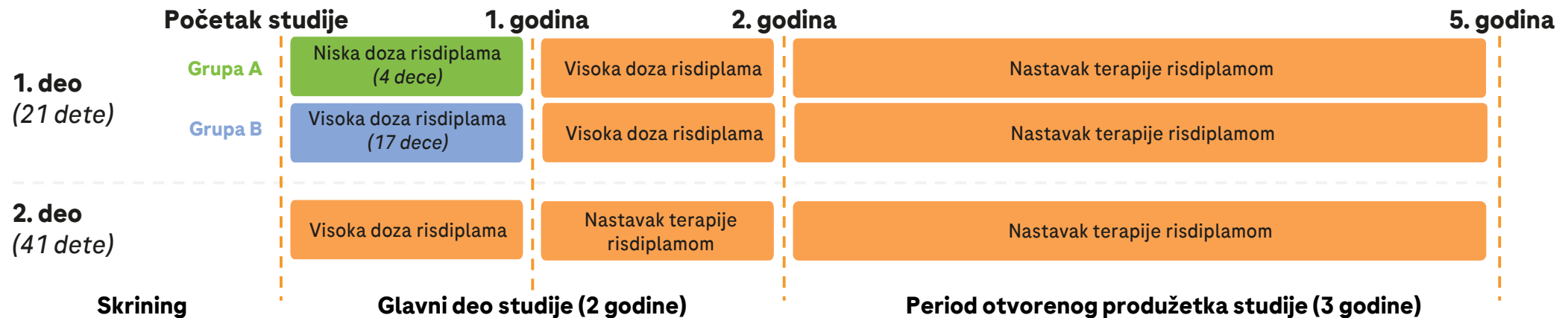


U 1. i 2. delu učestvovala su različita deca – ona koja su učestvovala u 1. delu nisu učestvovala u 2. delu.

Šta se dešavalo tokom svih 5 godina studije FIREFISH?

Kada su deca u **1. i 2. delu studije FIREFISH** završila 2 godine terapije risdiplomom, ušla su u period otvorenog produžetka.

Tokom ovog dela studije sva deca su dobijala terapiju risdiplomom u višoj dozi još 3 godine.



- Deca koja su primala višu dozu od početka studije (**1. deo studije FIREFISH**, grupa B i sva deca iz **2. dela studije FIREFISH**) mogu se spojiti u veću grupu poznatu kao „**grupisana populacija**”.
- Analiza rezultata veće, grupisane populacije pruža snažnije dokaze nego kada se svaka grupa procenjuje pojedinačno. To znači da istraživači mogu donositi zaključke o terapiji risdiplomom sa većom pouzdanošću.

Svi rezultati za svih 5 godina studije FIREFISH biće objavljeni za grupisanu populaciju.

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Koje su bile karakteristike beba u 1. i 2. delu studije FREFISH pre početka terapije?

U 1. deo je uključena 21 beba



29%

(6 od 21 bebe)
bilo je muškog pola



71%

(15 od 21 bebe)
bilo je ženskog pola



Prosečan uzrast u
kojem su simptomi
počeli bio je
1,9 meseci

6

Prosečan uzrast
prilikom
uključivanja bio je
5,8 meseci

U 2. deo je uključena 41 beba



46%

(19 od 41 bebe)
bilo je muškog pola



54%

(22 od 41 bebe)
bilo je ženskog pola



Prosečan uzrast u
kojem su simptomi
počeli bio je
1,6 meseci

5

Prosečan uzrast
prilikom
uključivanja bio je
5,2 meseca

Koji su bili glavni rezultati 1. dela studije FIREFISH?

Glavno istraživačko pitanje (**primarna krajnja tačka**) u **1. delu studije FIREFISH** bilo je utvrđivanje preporučene doze risdiplama za lečenje beba sa SMA tipa 1.

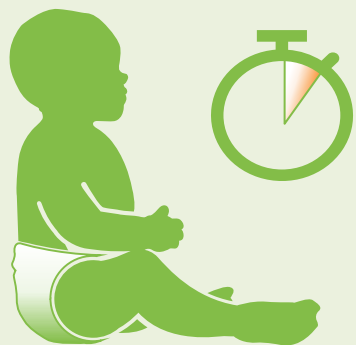
- Za primenu u 2. delu izabrana je visoka doza risdiplama jer je povećavala nivo proteina SMN bez izazivanja ozbiljnih neželjenih deјstava.
- Kada je izabrana doza za 2. deo, svi u **1. delu studije FIREFISH** prešli su na primanje te iste doze risdiplama do završetka studije.

Koji su bili glavni rezultati 2. dela studije FIREFISH?

Glavni cilj (**primarna krajnja tačka**) 2. dela studije FIREFISH bio je da se istraži delotvornost risdiplama (u kojoj meri risdiplam deluje).

Sposobnost sedenja je izabrana kao najbolji način da se to izmeri jer deca sa SMA tipa 1 koja se ne leče obično ne ostvaruju ovaj cilj vezan za sedenje.

Istraživači su pregledali rezultate kada su sve bebe koje su učestvovalе u **2. delu studije FIREFISH** završile 1 godinu terapije.



Nakon 1 godine, istraživači su koristili skalu BSID-III kako bi procenili da li bebe mogu da sede bez podrške 5 sekundi

29%

(12 od 41 bebe)

moglo je da sedi bez podrške
najmanje 5 sekundi.

U prethodnom dokumentu dat je rezime rezultata studije **FIREFISH** nakon što su bebe završile 1 godinu terapije risdiplamom. Kliknite [ovde](#) da biste videli rezime studije nakon 1 godine.

Više informacija o skali BSID-III potražite u brošuri „[Understanding the MFM and the SMAIS in the context of outcome measurements in SMA](#)” (Objašnjenje skala MFM i SMAIS u kontekstu merenja ishoda kod SMA).

BSID-III, Bejljeve skale za procenu razvoja odojčadi i male dece, treće izdanje; SMA, spinalna mišićna atrofija.

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Deca u 1. i 2. delu studije **FIREFISH** lečena su izabranom dozom risdiplama najduže 5 godina.

Studija **FIREFISH** je sada završena.

U sledećim rezultatima prijavljeni su podaci o delotvornosti (u kojoj meri risdiplam deluje) i bezbednosti (neželjena dejstva) iz grupisane populacije studije **FIREFISH** nakon 5 godina terapije.

Sva ta deca su od početka ispitivanja primala odabranu, konačnu dozu (tj. visoku dozu).

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Koje su bile karakteristike dece pre nego što su započela terapiju u studiji FİREFİSH?

Na početku studije (početna poseta), pre davanja risdiplama, izvršene su procene.

Grupisana populacija obuhvatala je 17 dece iz 1. dela i 41 dete iz 2. dela koja su dobijala visoku dozu risdiplama.

Grupisana populacija (58 dece)



43%

(25 od 58 dece)
bilo je muškog pola



57%

(33 od 58 dece)
bilo je ženskog pola

<2

Većina dece je bila mlađa od
2 meseca kada su se pojavili
simptomi SMA

38

dece (66%) imalo je simptome SMA
duže od 3 meseca pre nego što su
započela terapiju risdiplamom

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Koji su bili rezultati grupisane populacije nakon 5 godina terapije?



91%

dece je bilo
živo



81%

dece je bilo živo i nije
im bila potrebna
stalna podrška za
disanje*

*Stalna podrška za disanje se definiše kao **traheostomija** ili **BiPAP** (bilevel positive airway pressure – pozitivan pritisak u disajnim putevima na dva nivoa) tokom najmanje 16 sati dnevno neprekidno tokom 3 nedelje ili neprekidna **intubacija** tokom više od 3 nedelje, u odsustvu ili nakon razrešenja akutnog reverzibilnog događaja.

Traheostomija je postupak u kom se tubus ubacuje kroz vrat u dušnik. Time se omogućava ulazak vazduha u pluća.

BiPaP je uređaj koji pomaže u disanju uz korišćenje maske za lice.

Intubacija je ubacivanje tubusa kroz usta u dušnik. Time se omogućava ulazak vazduha u pluća.



Koliko dece je moglo da sedi bez podrške nakon 5 godina terapije risdiplamom ?



62%
(36 od 58 dece)

moglo je da sedi bez podrške najmanje 5 sekundi, mereno pomoću skale BSID-III.

59%
(34 od 58 dece)

moglo je da sedi bez podrške najmanje 30 sekundi, mereno pomoću skale BSID-III.

59%
(34 od 58 dece)

moglo je da sedi bez podrške, mereno pomoću skale HINE-2.

Više informacija o merama fizičke sposobnosti potražite u brošuri „[Understanding the MFM and the SMAIS in the context of outcome measurements in SMA](#)” (Objašnjenje skala MFM i SMAIS u kontekstu merenja ishoda kod SMA).

Koliko je dece moglo da stoji i hoda nakon 5 godina terapije risdiplamom?



7%
(4 od 58 dece)

bilo je u stanju da stoji bez podrške,
mereno pomoću skale BSID-III.

12%
(7 od 58 dece)

bilo je u stanju da stoji uz podršku ili bez nje,
mereno pomoću skale HINE-2.



0%
(0 od 58 dece)

bilo je u stanju da hoda bez podrške,
mereno pomoću skale BSID-III.

10%
(6 od 58 dece)

bilo je u stanju da hoda uz podršku,
mereno pomoću skale HINE-2.

Više informacija o merama pokretljivosti potražite u brošuri „[Understanding the MFM and the SMAIS in the context of outcome measurements in SMA](#)” (Objašnjenje skala MFM i SMAIS u kontekstu merenja ishoda kod SMA).

Koliko je dece moglo da guta i uzima hranu na usta nakon 5 godina terapije risdiplamom?



96%

(46 od 48 dece)

bilo je u stanju da
guta.

91%

(42 od 46 dece)

bilo je u stanju da
uzima hranu na usta.

80%

(37 od 46 dece)

bilo je u stanju da uzima
hranu na usta, bez ikakve
podrške za hranjenje.

- Procene gutanja i uzimanja hrane odnosile su se na sposobnost dece da uzimaju hranu na usta, kao i na to koliko su dobro mogli da gutaju hranu ili piće.
- Podrška za hranjenje obezbeđena je u vidu tubusa za hranjenje.

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
deјstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Informacije o neželjenim deјstvima dostupne za decu iz studije FIREFISH nakon 5 godina terapije risdiplamom

Studija **FIREFISH** je sada završena. Deca su završila najviše 5 godina terapije.

Neželjena deјstva su prijavljena za grupisanu populaciju studije **FIREFISH**, koja obuhvata svu decu iz 1. dela koja su dobijala visoku dozu risdiplama i svu decu iz 2. dela.

Neželjena deјstva su zdravstveni problemi (kao što su vrtoglavica ili mučnina) do kojih dolazi tokom studije.

Nisu sva neželjena deјstva povezana sa studijskim lekom, neka se javljaju slučajno. Lekari prijavljuju kompaniji Roche sve zdravstvene probleme koje osobe imaju tokom studije kako bi se potražile pravilnosti između svih osoba koje učestvuju.

Važno je znati sledeće:

- Nisu se sva navedena neželjena deјstva pojavila kod svih osoba u ovoj studiji.
- Neželjena deјstva mogu biti blaga do ozbiljna i mogu se razlikovati od osobe do osobe.
- Važno je imati u vidu da se neželjena deјstva koja su ovde opisana odnose samo na ovu studiju. U skladu sa time, neželjena deјstva prikazana ovde mogu biti različita od onih uočenih u drugim studijama ili onih koja su navedena u uputstvu za lek.

Ozbiljna i uobičajena neželjena deјstva prijavljena u studiji **FIREFISH** navedena su u odeljcima koji slede.



Koja su bila ozbiljna neželjena dejstva u studiji FIREFISH?

Neželjeno dejstvo se smatra „ozbiljnim” ako je opasno po život, zahteva bolničko lečenje ili izaziva trajne probleme.

Nisu sva prijavljena ozbiljna neželjena dejstva povezana sa studijskim lekom.

U studiji FIREFISH, dvoje dece je imalo ozbiljna neželjena dejstva za koja su studijski lekari smatrali da su povezana sa uzimanjem risdiplama.

To su bili infekcija vazdušnih kesica u plućima (pneumonija) i nedostatak kiseonika u telu (asfiksija).

Ozbiljna neželjena dejstva su prijavljena kod 47 od 58 dece (81%) u studiji FIREFISH.

Najčešća ozbiljna neželjena dejstva navedena su ovde.

Svako od ovih neželjenih dejstava prijavljeno je kod najmanje četvero dece.

Najčešća ozbiljna neželjena dejstva	Kod kog procenta dece je prijavljeno ovo neželjeno dejstvo?
Infekcija vazdušnih kesica u plućima (<i>pneumonija</i>)	45% (26 od 58 dece)
Otežano disanje (<i>respiratorni distres</i>)	10% (6 od 58 dece)
Infekcija pluća izazvana virusom (<i>virusna pneumonija</i>)	9% (5 od 58 dece)
Nedostatak kiseonika u telu (<i>respiratorna insuficijencija</i>)	7% (4 od 58 dece)

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Koja su bila neželjena dejstva u studiji FIREFISH?

Neželjena dejstva su zdravstveni problemi (kao što su vrtoglavica ili mučnina) do kojih dolazi tokom studije. Nisu sva prijavljena neželjena dejstva povezana sa studijskim lekom.

Ovde su navedena najčešća neželjena dejstva prijavljena u studiji **FIREFISH**.

Svako od ovih neželjenih dejstava prijavljeno je kod najmanje 11 dece.

Najčešća neželjena dejstva

Kod kog procenta dece je prijavljeno ovo neželjeno dejstvo?

Infekcija u nosu, grlu i sinusima (*infekcija gornjeg respiratornog trakta*)
Groznica (*pireksija*)

64%
(37 od 58 dece)

Infekcija vazdušnih kesica u plućima (*pneumonija*)

50%
(29 od 58 dece)

Upala nosa i grla (*nazofaringitis*)
Dijareja

28%
(16 od 58 dece)

Konstipacija

26%
(15 od 58 dece)

Mučnina (povraćanje)
Kašalj
COVID-19
Curenje iz nosa ili začepljen nos, kijanje (*rinitis*)

21%
(12 od 58 dece)

Upala disajnih puteva u plućima (*bronhitis*)
Infekcija u nosu, grlu i disajnim putevima (*infekcija respiratornog trakta*)

19%
(11 od 58 dece)



Koja su bila neželjena dejstva povezana sa terapijom risdiplamom?

U studiji **FIREFISH** lekari su prijavili neželjena dejstva za koja su smatrali da su povezana sa risdiplamom kod 11 od 58 dece (19%).

Ovde su navedena najčešća neželjena dejstva povezana sa uzimanjem risdiplama.

Svako od ovih neželjenih dejstava prijavljeno je kod najmanje dvoje dece.

Najčešća neželjena dejstva povezana sa terapijom risdiplamom	Kod kog procenta dece je prijavljeno ovo neželjeno dejstvo?
Krv u urinu (<i>hematurija</i>)	5% (3 od 58 dece)
Infekcija vazdušnih kesica u plućima (<i>pneumonija</i>)	3% (2 od 58 dece)
Konstipacija	3% (2 od 58 dece)
Infekcija urinarnog trakta	3% (2 od 58 dece)
Diskoloracija kože	3% (2 od 58 dece)
Ravna, crvena površina na koži koja je prekrivena sitnim kvržicama (<i>makulopapularni osip</i>)	3% (2 od 58 dece)

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
dejstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Kako je ova studija pomogla osobama koje žive sa SMA i istraživačima?

Kod zdravstvenih stanja kao što je SMA, u vezi sa kojima još uvek postoje neodgovorena medicinska pitanja i neispunjene potrebe pacijenata, proučavanje mogućih novih lekova i različitih načina primene (kao što je risdiplam kao jedina odobrena oralna terapija za SMA) važno je za unapređenje ishoda i nege pacijenata.

Rezultati studije FIREFISH su omogućili istraživačima i osobama koje žive sa SMA da bolje razumeju dejstva risdiplama kod dece sa SMA tipa 1.

Studije sa risdiplamom se trenutno sprovode, a planiraju se i dodatne studije.

Rezultati su doprineli tome da se utvrdi najdelotvornija doza risdiplama za decu sa SMA tipa 1 i doveli do toga da zdravstveni organi odobre risdiplam za lečenje SMA.

Risdiplam je odobrila američka Uprava za hranu i lekove (Food & Drug Administration, FDA) za lečenje SMA kod odraslih i pedijatrijskih pacijenata.

Risdiplam je odobrila Evropska komisija za lečenje SMA kod pacijenata sa SMA tipa 1, tipa 2 ili tipa 3 ili sa jednom do četiri kopije gena *SMN2*.

Ovaj rezime sadrži rezultate iz celokupne studije **FIREFISH**. Deca su lečena risdiplamom najduže 5 godina.

Ovi rezultati su važni za razumevanje bezbednosnog profila risdiplama u lečenju dece sa SMA tipa 1 risdiplamom.

Nijedna studija nam ne može reći sve o rizicima i koristima nekog leka. Pre donošenja bilo kakve odluke o svom lečenju, obavezno razgovarajte sa lekarom.

Opšte
informacije o
studiji

Ko je mogao da
učestvuje u
studiji?

Šta se
događalo
tokom studije?

Koji su bili
rezultati
studije?

Koja su bila
neželjena
deјstva?

Šta smo
saznali iz
studije?

Gde mogu da
pronađem
dodatne
informacije?



Dodatne informacije

Gde mogu da pronađem dodatne informacije?

Dodatne informacije o ovoj studiji možete da pronađete na veb-sajtovima u nastavku:

- <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>

Pun naziv ove studije je: Dvodelna, otvorena, multicentrična studija bez prekida između delova za istraživanje bezbednosti, podnošljivosti, farmakokinetike, farmakodinamike i delotvornosti leka RO7034067 kod odojčadi sa spinalnom mišićnom atrofijom tipa 1.

Studija je poznata kao „**FIREFISH**”.

Broj protokola za ovu studiju je: BP39056.

ClinicalTrials.gov identifikator za ovu studiju je: NCT02913482.

EudraCT broj za ovu studiju je: 2016-000778-40.

Ako ste vi ili vaše dete učestvovali u ovoj studiji i imate bilo kakvih pitanja o rezultatima, razgovarajte sa svojim lekarom.

Ako imate bilo kakvih dodatnih pitanja, obratite se predstavniku u lokalnoj kancelariji kompanije Roche.

Adresa sponzora ovog ispitivanja:

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

U prethodnim dokumentima dat je rezime rezultata studije **FIREFISH** nakon što su deca završila 1 godinu i 2 godine terapije risdiplamom.

Kliknite [ovde](#) da biste videli rezime studije nakon 1 godine.

Kliknite [ovde](#) da biste videli rezime studije nakon 2 godine.