

Короткий виклад  
остаточних результатів  
дослідження FIREFISH –  
клінічного дослідження,  
що проводилося з метою  
визначення ефективності  
та безпечності рисдипламу  
у дітей із СМА 1-го типу



*Повну назву дослідження можна знайти в кінці документа*

## Інформація про цей короткий огляд

Це короткий виклад результатів клінічного випробування (що називається «дослідження» в цьому документі). Він був підготовлений для представників громадськості та людей, які брали участь у дослідженні.

Дослідження **FIREFISH** (NCT02913482) розпочалося у грудні 2016 року та завершилося у грудні 2023 року. Цей короткий огляд було підготовлено після закінчення дослідження. Препаратом, який вивчали у рамках цього дослідження, був рисдиплам.

Цілі (кінцеві точки) дослідження **FIREFISH** були досягнуті в листопаді 2019 року, коли останній учасник дослідження завершив 1 рік лікування рисдипламом. У цьому документі міститься короткий виклад остаточних результатів дослідження **FIREFISH** після його завершення.

### Цей короткий огляд містить таку інформацію:

Загальна інформація про дослідження

Хто міг брати участь у дослідженні?

Що відбувалося під час дослідження?

Які були результати дослідження?

Які були побічні ефекти?

Що ми дізналися під час цього дослідження?

Де я можу отримати більше інформації?

У попередніх документах був представлений короткий огляд результатів дослідження **FIREFISH** після того, як діти завершили 1 рік і 2 роки лікування рисдипламом.

Натисніть [тут](#), щоб ознайомитися з коротким оглядом даних за 1 рік.

Натисніть [тут](#), щоб ознайомитися з коротким оглядом даних за 2 роки.

## Що таке СМА?

Спинальна м'язова атрофія (СМА) – це рідкісне генетичне нейро м'язове захворювання, що руйнує нервові клітини, які керують м'язами, так звані мотонейрони.



СМА руйнує нервові клітини спинного мозку, що керують м'язами, так звані мотонейрони.



Руйнування мотонейронів спричиняє м'язову слабкість і втрату рухових функцій через виснаження (атрофію) м'язів.

Люди, які живуть з СМА, мають труднощі з виконанням основних життєвих функцій, в тому числі з диханням і ковтанням.

Тяжкість СМА залежить від багатьох факторів, включно з віком, у якому виникають симптоми. Існує п'ять типів СМА, залежно від віку виникнення симптомів та досягнення найвищого рівня розвитку фізичних можливостей (наприклад, здатності сидіти чи ходити).

### Типи СМА

Тип	Вік початку симптомів	Вплив на м'язи та рухову здатність
0	До народження	Немовлята не рухаються активно в утробі матері і народжуються з вираженою м'язовою слабкістю
1	Від народження до 6 місяців	Діти ніколи не зможуть сидіти самостійно
2	Від 6 до 18 місяців	Діти зазвичай можуть сидіти, а деякі можуть стояти з допомогою, але вони не можуть ходити
3	Починаючи з 18 місяців	Діти можуть ходити, але з часом вони можуть втратити цю здатність
4	Починаючи з 18 років	Ця форма СМА розвивається в зрілому віці. Це найменш тяжкий тип СМА.

## Для чого проводилось це дослідження?

На початку проведення цього дослідження не існувало жодних методів лікування людей із СМА.

Метою нових методів лікування є усунення основної причини СМА, допомога людям із СМА у збільшенні тривалості життя, зменшення симптомів загалом, збереження здатності рухатися (рухової функції) та поліпшення якості життя.

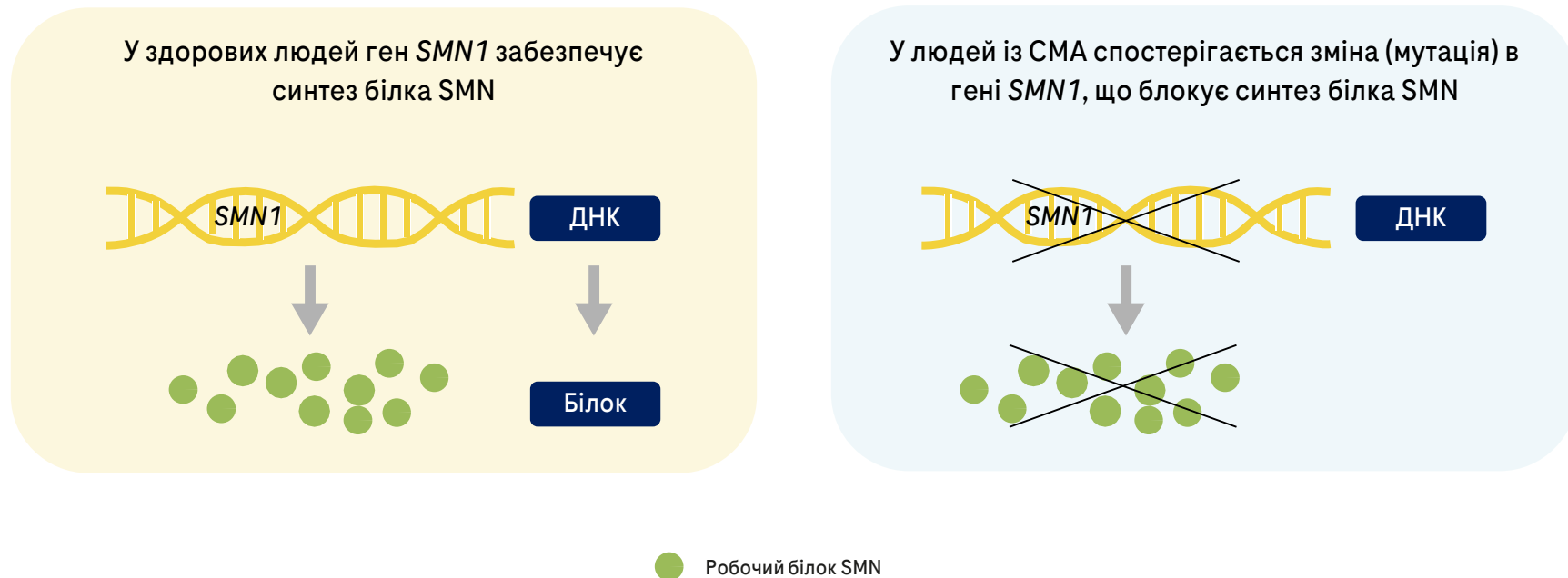
Дослідження **FIREFISH** проводилося з метою вивчення безпечності та ефективності (наскільки добре діє лікування) рисдипламу у дітей з СМА 1-го типу, вік яких на момент включення у дослідження становив від 1 до 7 місяців.

## Що є причиною виникнення СМА? (1/2)

Причиною виникнення СМА є низький рівень білка, який називається білком «виживання мотонейронів» (також відомий як білок SMN).

Білок SMN має вирішальне значення для функції нервів, які контролюють м'язи. Без достатньо високого рівня білка SMN ці нерви перестають функціонувати належним чином (дегенерують) і в кінцевому підсумку відмирають, спричиняючи слабкість й виснаження м'язів.

Білок SMN в основному виробляється за допомогою гена, який називається геном «виживання мотонейронів 1» (також відомий як *SMN1*).

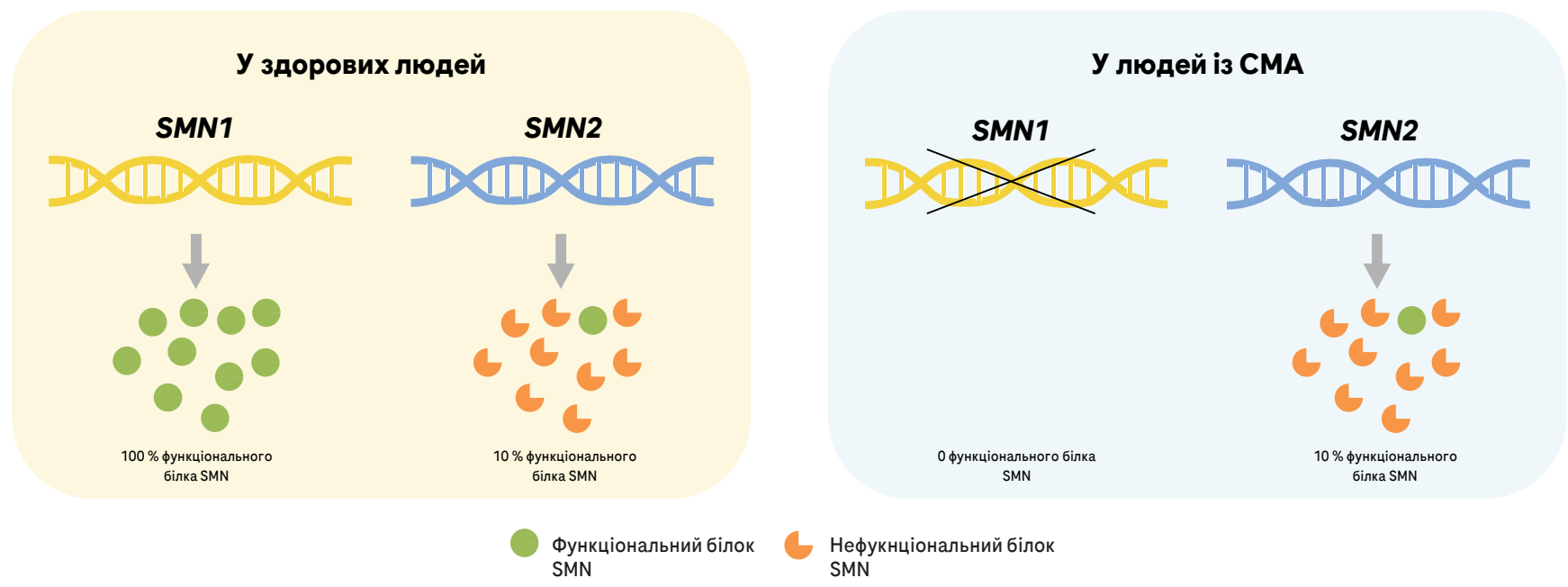


## Що є причиною виникнення СМА? (2/2)

Люди мають схожий ген, який називається геном виживання мотонейронів 2 (також відомий як *SMN2*), що може бути «резервним» геном для синтезу білка SMN. Людям із СМА потрібно використовувати *SMN2* для синтезу білка SMN, оскільки в них немає *SMN1*.

Однак лише близько 1 з 10 (10 %) білків SMN, вироблених на основі *SMN2*, функціонує належним чином. Цього білка недостатньо для компенсації втрати гена *SMN1*.

Чим більше копій гена *SMN2* є в людини, тим більше білка SMN вона може виробляти, що робить симптоми СМА менш тяжкими.



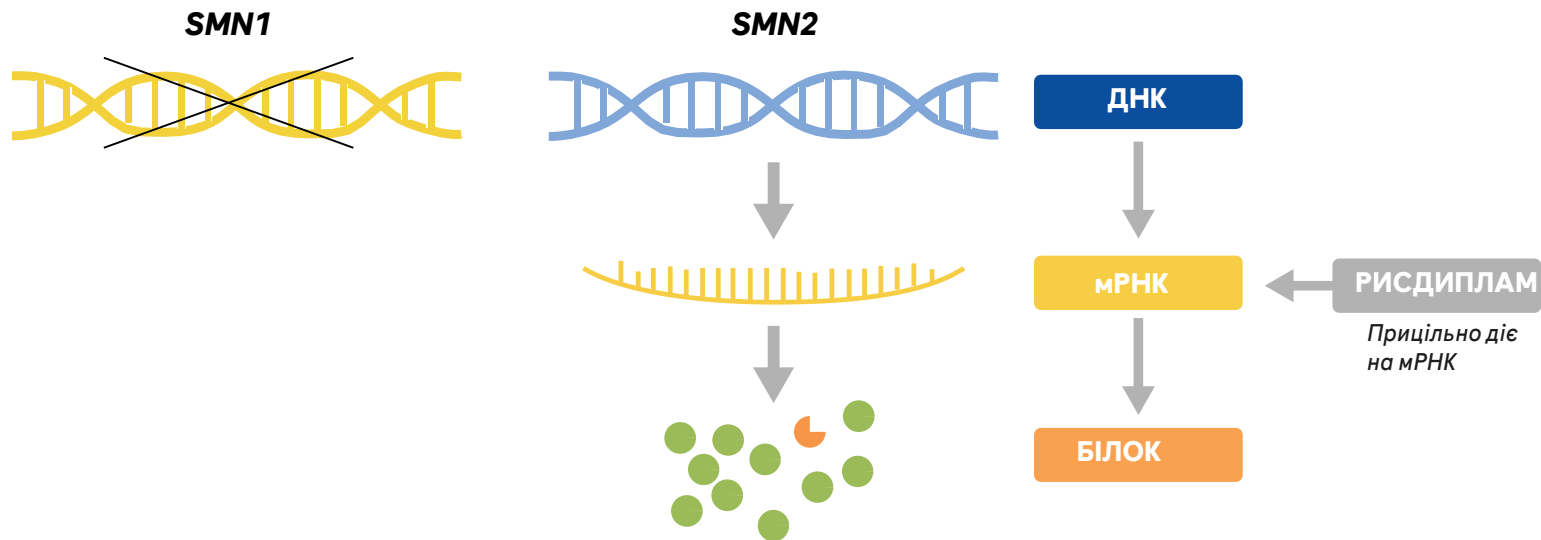
# Що таке рисдиплам і як він працює?

Рисдиплам – це препарат, який вивчали в дослідженні **FIREFISH**.

Рисдиплам має форму рідини, яку приймають один раз на добу всередину (перорально) або вводять за допомогою зонду для годування у разі проблем з ковтанням.

Рисдиплам розроблений, щоб допомогти гену *SMN2* забезпечувати вироблення більшої кількості функціонального білка SMN для підтримки та поліпшення м'язової функції.

Інструкції гена *SMN2* є неправильними, і більшість виробленого білка SMN не працює. Рисдиплам прицільно діє на інструкції (мРНК) гена *SMN2*, щоб забезпечити вироблення більшої кількості функціонального білка SMN.



● Функціональний білок SMN
 ● Нефункціональний білок SMN

SMN – виживання мотонейронів (survival of motor neuron).

## Що хотіли дізнатися дослідники?

Метою дослідження **FIREFISH** було отримання відповідей на запитання про ризидиплам.

Щоб зрозуміти ефекти ризидипламу, дослідження включало кілька показників оцінки результатів (кінцевих точок).

Кінцеві точки – конкретні кількісні показники, що використовуються дослідниками для оцінки ефектів досліджуваного лікування.

- **Первинні кінцеві точки** використовуються для відповіді на головне запитання дослідження. Дослідження вважається успішним, якщо ці результати або події відбуваються в певний момент дослідження (первинна кінцева точка досягнута).
- **Вторинні та пошукові кінцеві точки** надають додаткову інформацію, яка допомагає дослідникам зрозуміти ефекти досліджуваного лікування.

Дослідження **FIREFISH** було розділено на дві частини.



## Що хотіли дізнатися дослідники в частині 1 дослідження FIREFISH?

На яке головне запитання (**первинна кінцева точка**) дослідники хотіли знайти відповідь у **частині 1 дослідження FIREFISH**?

Рекомендована доза риздипламу для лікування немовлят віком від 1 до 7 місяців із СМА 1 типу для застосування в **частині 2 дослідження FIREFISH**.

- Для визначення дози дослідники вивчали рівні риздипламу в крові дітей, які брали участь у дослідженні, і визначали у них рівень білка SMN.
- Вибрана доза мала бути безпечною та повинна була призводити до значного збільшення рівня білка SMN.

## Що хотіли дізнатися дослідники в частині 2 дослідження FIREFISH?

- Доза риздипламу, вибрана в **частині 1 дослідження FIREFISH**, призначалася всім дітям у **частині 2**.
- На яке головне запитання (**первинна кінцева точка**) дослідники хотіли знайти відповідь у **частині 2 дослідження FIREFISH** ?

**Первинною кінцевою точкою частини 2 дослідження FIREFISH** було вивчення ефективності риздипламу (тобто визначення того, наскільки добре він діє).

- Для цього оцінювали відсоток дітей, які могли сидіти без підтримки протягом щонайменше 5 секунд після 1 року лікування риздипламом.
  - Ця кінцева точка була обрана з урахуванням того, що діти з СМА 1-го типу, які не отримують лікування, зазвичай не можуть сидіти без підтримки

## Що хотіли дізнатися дослідники протягом усього 5-річного періоду дослідження FIREFISH?

- Після того, як були досягнуті **первинні кінцеві точки** в **частинах 1 і 2 дослідження FIREFISH**, усі діти могли продовжувати участь у дослідженні протягом періоду до 5 років.
- Якими були інші важливі запитання (**вторинні та пошукові кінцеві точки**), відповідь на які дослідники хотіли з'ясувати в **дослідженні FIREFISH** протягом усього 5-річного періоду?

**Вторинні та пошукові кінцеві точки** повинні були дати відповідь на запитання про кількість дітей, які:

- вижили
- могли споживати їжу через рот
- досягли певних етапів рухового (моторного) розвитку
- мали побічні ефекти

## Як дослідники визначали фізичні можливості дітей у дослідженні FIREFISH?

Фізичні можливості у даному випадку означає, наскільки добре дитина може використовувати різні частини тіла для виконання таких етапів розвитку, як сидіння, стояння та ходьба.

У дослідженні **FIREFISH** для оцінки дітей, які отримували риздиклам, використовували різні тести (результати).

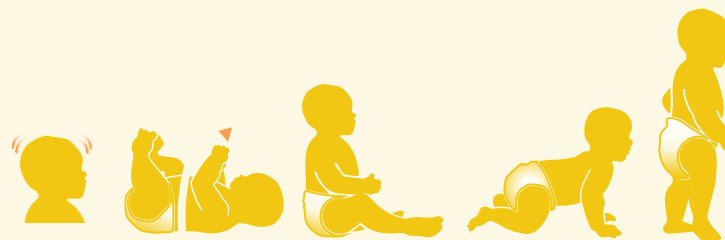
**Шкали Бейлі для оцінки розвитку немовлят і дітей раннього віку, третє видання (Bayley Scales of Infant and Toddler Development, Third Edition, BSID-III)**



За допомогою шкали **BSID-III** оцінюють, наскільки добре діти виконують різні види діяльності (такі як сидіння, стояння та ходьба) порівняно з іншими дітьми того ж віку.

**Чому потрібен цей тест?** Це інструмент для діагностики затримки розвитку у дітей віком від 1 до 42 місяців.

**Неврологічне обстеження немовлят за методом клініки Hammersmith, модуль 2 (Hammersmith Infant Neurological Examination, Module 2, HINE-2)**



За допомогою шкали **HINE-2** можна визначити, чи можуть діти досягти таких етапів розвитку, як тримання голови, сидіння, перекидання на бік, стояння та ходьба.

**Чому потрібен цей тест?** За допомогою цього тесту оцінюють, чи може дитина досягти основних етапів моторного (рухового) розвитку, які відповідають її віку.

Більш докладну інформацію про ці показники моторного розвитку див. у брошурі [«Основні відомості про MFM та SMAIS у контексті оцінки результатів при СМА»](#).

BSID-III – шкали Бейлі для оцінки розвитку немовлят і дітей раннього віку, третє видання; HINE-2 – неврологічне обстеження немовлят за методом клініки Hammersmith, модуль 2; СМА – спінальна м'язова атрофія.

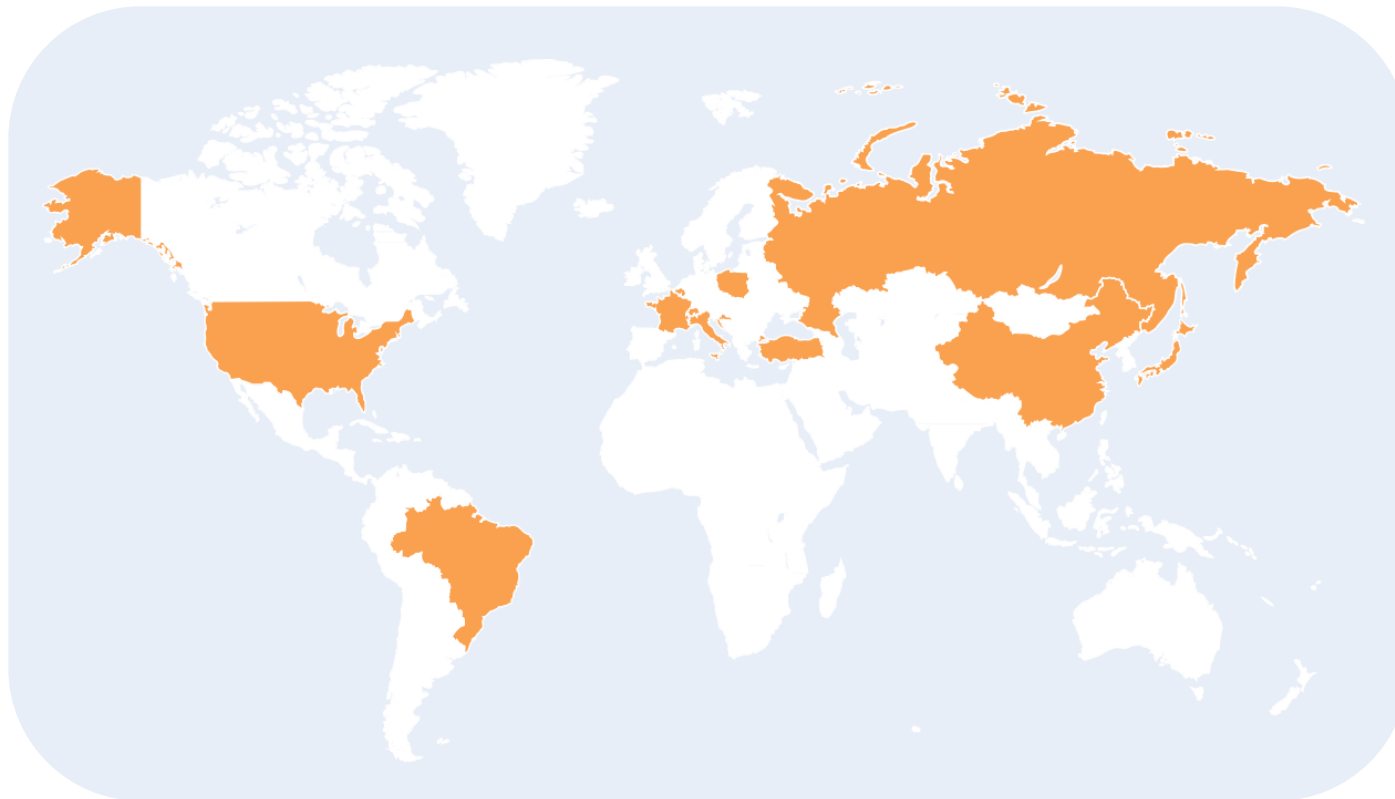
## Коли й де проводилося це дослідження?

Дослідження **FIREFISH** розпочалося у грудні 2016 року і закінчилося у грудні 2023 року, коли всі діти, які брали в ньому участь, отримали лікування ризидипломом протягом періоду до 5 років. Цей короткий огляд дослідження було складено після його закінчення.

**FIREFISH** – це міжнародне дослідження, яке проводилося в 17 лікарнях у 12 країнах світу. На карті нижче показані місця проведення дослідження.

### Країни, в яких проводилося дослідження FIREFISH:

- Бельгія
- Бразилія
- Китай
- Хорватія
- Франція
- Італія
- Японія
- Польща
- Росія
- Швейцарія
- Туреччина
- США



## Хто міг брати участь у дослідженні?

У дослідженні **FIREFISH** брали участь діти віком від 1 до 7 місяців на момент включення в дослідження (початку участі в ньому). Усім їм був встановлений діагноз СМА

Нижче наведено основні вимоги до дітей, які брали участь у дослідженні:

Основні критерії включення	Основні критерії виключення
<p><b>Діти <b>могли</b> брати участь у дослідженні, якщо у них:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Виникли симптоми СМА у віці від 1 до 3 місяців</li> <li>• Було проведено тест, який підтвердив, що це СМА (генетичний діагноз)</li> <li>• Було дві копії гена <i>SMN2</i></li> <li>• Було досягнуто відновлення після будь-якого можливого короткострокового захворювання на момент скринінгу в дослідження, і їхній стан вважався достатньо гарним для участі у дослідженні</li> </ul>	<p><b>Діти <b>не могли</b> брати участь у дослідженні, якщо вони:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Брали участь в іншому клінічному дослідженні у межах останніх 3 місяців</li> <li>• Раніше отримували медикаментозне лікування або генну чи клітинну терапію з приводу СМА</li> <li>• Потребували значної медичної підтримки для забезпечення дихання протягом більше 16 годин на добу</li> <li>• Останнім часом мали екстрені ситуації, що вимагали нічного перебування у лікарні, або серйозні захворювання, від яких вони не повністю відновилися.</li> </ul>

Повну інформацію про критерії включення/виключення можна знайти на сайті: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.

## Яким був дизайн дослідження FIREFISH?

Дослідження **FIREFISH** було «відкритим».

- Термін «відкритим» означає, що всі особи, залучені в дослідження, включно з дітьми, які беруть участь у ньому, їхніми сім'ями та лікарями-дослідниками, знали, яке лікування отримував учасник.
- Усі учасники дослідження отримували ризидиплам.
- Учасники отримували ризидиплам протягом 2 років в основній частині дослідження.
- Після завершення основної частини дослідження учасники могли на власний розсуд продовжувати отримувати ризидиплам протягом ще 3 років (цей період називався відкритим додатковим періодом).

**Дослідження FIREFISH** складалося із двох частин:

- У частині 1 випробовували різні дози ризидипламу з метою підбору оптимальної дози для дітей із СМА 1-го типу.
- У частині 2 оцінювали ефективність (наскільки добре діяло лікування) та безпечність ризидипламу у дітей із СМА 1-го типу. Дітям, які отримували ризидиплам у частині 2, призначали дозу, визначену в частині 1.

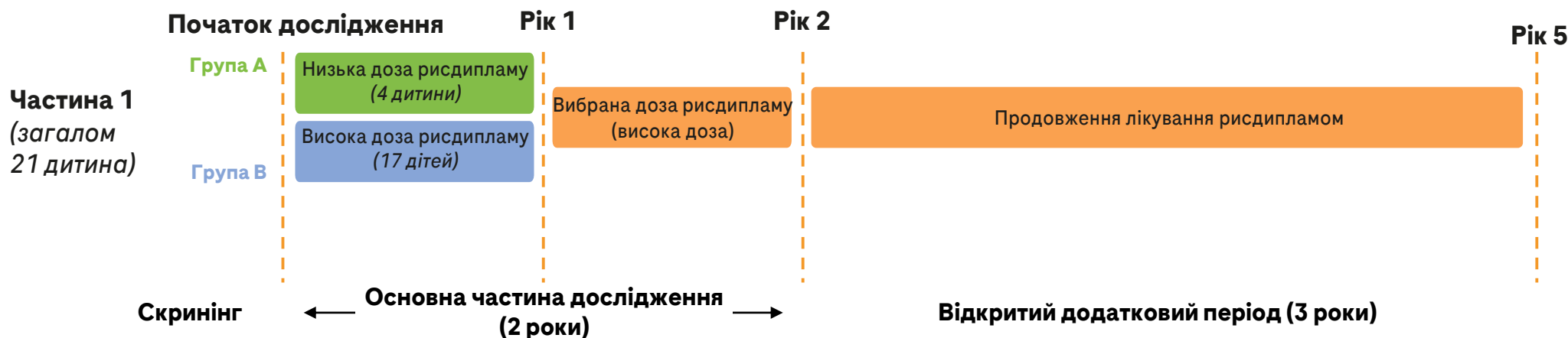
*У частині 1 та 2 брали участь різні діти – діти, які брали участь у частині 1, у частині 2 участі не брали.*

## Що відбувалося під час частини 1 дослідження FIREFISH?

**Мета частини 1 дослідження FIREFISH** полягала в тому, щоб підібрати найкращу дозу риздипламу для дітей із СМА 1-го типу. Ця доза мала застосовуватися до кінця дослідження.

Учасники були розділені на дві групи та отримали різні дози риздипламу.

- **Група А** (загалом **4 дитини**) отримувала **низьку дозу** риздипламу
- **Група В** (загалом **17 дітей**) отримувала **вищу дозу** риздипламу



Доза, вибрана в **частині 1 дослідження FIREFISH**, застосовувалася в **частині 2** і протягом відкритого додаткового періоду.

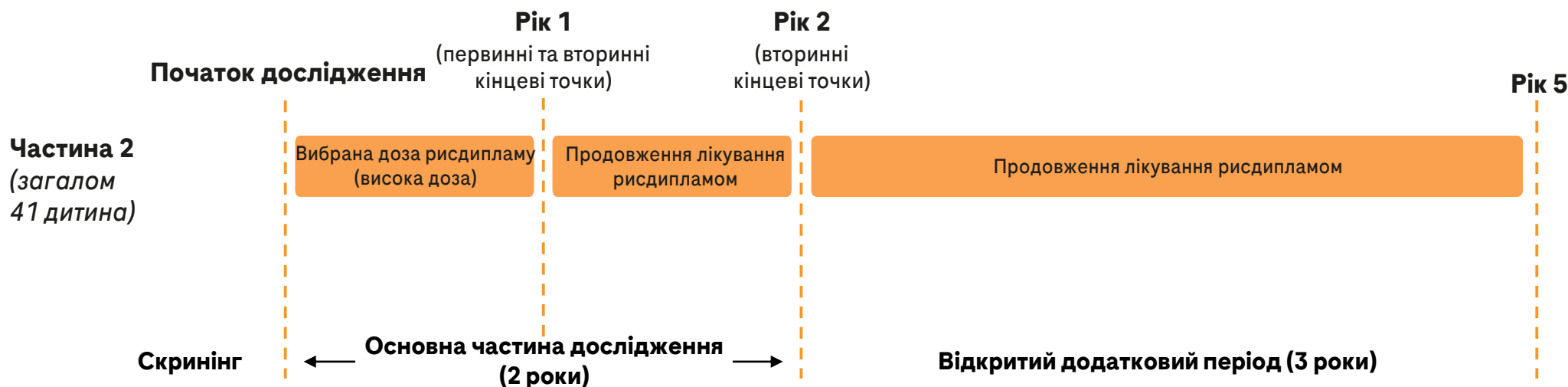
Чотири дитини, які отримували низьку дозу риздипламу, були переведені на високу дозу через 1 рік і змогли продовжити участь у дослідженні до 5 років.



## Що відбувалося під час частини 2 дослідження FIREFISH?

Мета частини 2 дослідження **FIREFISH** полягала в тому, щоб визначити, наскільки ризидиплам був ефективним при лікуванні дітей із СМА 1-го типу.

- Усі діти у частині 2 отримували дозу ризидипламу, вибрану в частині 1 (вища доза).



У частині 1 та 2 брали участь різні діти – діти, які брали участь у частині 1, у частині 2 участі не брали.

## Що відбувалося протягом усіх 5 років дослідження FIREFISH?

Після того, як діти, які брали участь у **частинах 1 і 2 дослідження FIREFISH**, завершили 2-річне лікування ризидипламом, вони перейшли у відкритий додатковий період.

У цій частині дослідження всі діти ще протягом 3 років отримували ризидиплам у вищій дозі.



- Діти, які отримували вищу дозу від початку дослідження (група В у **частині 1 дослідження FIREFISH** і всі діти в **частині 2 дослідження FIREFISH**), можуть бути об'єднані у більшу групу, що називається «**зведеною вибіркою**».
- Аналіз результатів більшої зведеної вибірки дає вагоміші докази, аніж при окремій оцінці кожної групи. Це означає, що дослідники можуть бути більш впевненими у висновках, які вони роблять щодо лікування ризидипламом.

Усі 5-річні результати дослідження FIREFISH будуть представлені для зведеної вибірки.

## Якими були характеристики дітей у частинах 1 та 2 дослідження FIREFISH до початку лікування?

### У частину 1 було включено 21 дитину



29 %  
(6 з 21 дитини)  
були хлопчиками



71 %  
(15 з 21 дитини)  
були дівчатками



Середній вік появи симптомів  
1,9 місяця

6

Середній вік при включенні в дослідження становив 5,8 місяця

### У частину 2 було включено 41 дитину



46 %  
(19 з 41 дитини)  
були хлопчиками



54 %  
(22 з 41 дитини)  
були дівчатками



Середній вік появи симптомів  
1,6 місяця

5

Середній вік при включенні в дослідження становив 5,2 місяця



## Які були основні результати частини 1 дослідження FIREFISH?

Основним запитанням (**первинна кінцева точка**) у **частині 1 дослідження FIREFISH** було прийняття рішення щодо рекомендованої дози рисдипламу для лікування дітей із СМА 1-го типу.

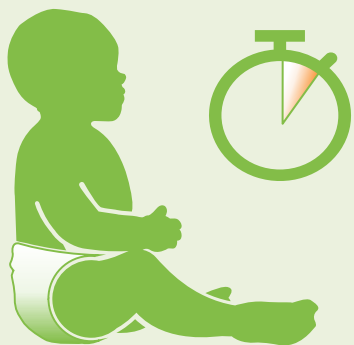
- Для застосування в частині 2 була вибрана висока доза рисдипламу, оскільки вона підвищувала рівень білка SMN, не викликаючи серйозних побічних ефектів.
- Після вибору дози для частини 2 всі учасники **частини 1 дослідження FIREFISH** були переведені на отримання цієї дози рисдипламу до закінчення дослідження.

## Які були основні результати частини 2 дослідження FIREFISH?

Основна мета (**первинна кінцева точка**) частини 2 дослідження **FIREFISH** полягала у вивченні ефективності ризидипламу (тобто визначення того, наскільки добре він діє).

Здатність сидіти була вибрана як найкращий спосіб визначення цього, оскільки діти з СМА 1-го типу, які не отримують лікування, зазвичай не досягають цього етапу моторного розвитку.

Дослідники проаналізували результати після того, як усі діти, які брали участь у **частині 2 дослідження FIREFISH**, завершили 1 рік лікування.



Через 1 рік дослідники використовували шкалу BSID-III, щоб оцінити, чи можуть діти сидіти без підтримки протягом принаймні 5 секунд

**29 %**

**(12 з 41 немовляти)**

могли сидіти без підтримки протягом принаймні 5 секунд.

У попередньому документі представлена короткий огляд результатів дослідження **FIREFISH** після того, як діти завершили 1 рік лікування ризидипломом. Натисніть [ТУТ](#), щоб ознайомитися з коротким оглядом даних за 1 рік.

Більш докладну інформацію про шкалу BSID-III див. у брошурі «[Основні відомості про MFM та SMAIS у контексті оцінки результатів при СМА](#)».

## Діти, які брали участь у частинах 1 і 2 дослідження **FIREFISH**, отримували лікування вибраною дозою рисдипламу протягом періоду до 5 років.

Дослідження **FIREFISH** вже завершено.

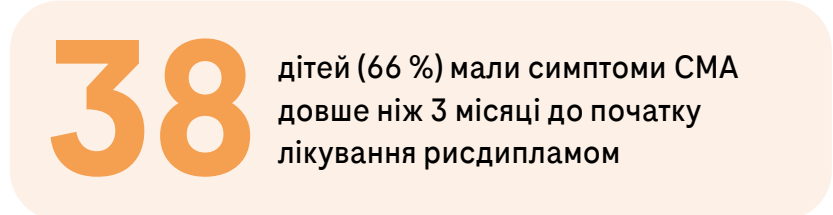
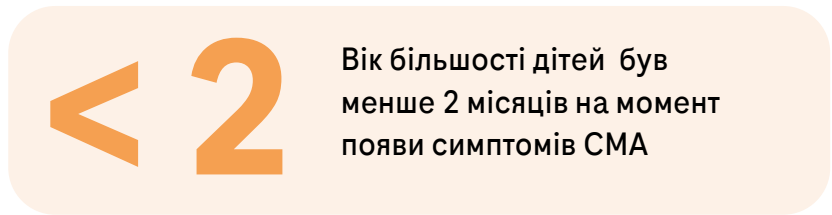
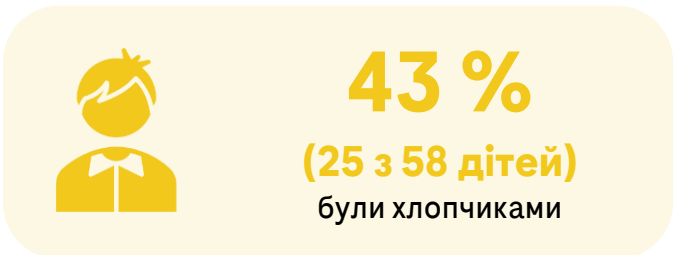
Нижче наведено дані про ефективність (наскільки добре діє рисдиплам) та безпечність (побічні ефекти) у зведеній вибірці дослідження **FIREFISH** після 5 років лікування.

Усі ці діти отримували вибрану, остаточну дозу (тобто високу дозу) препарату від початку дослідження.

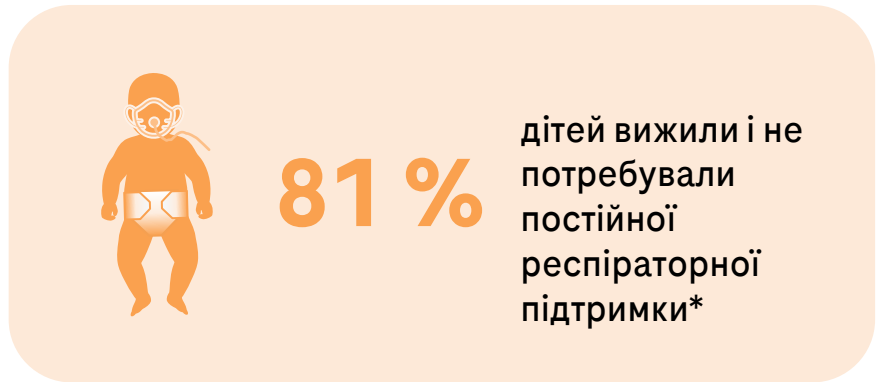
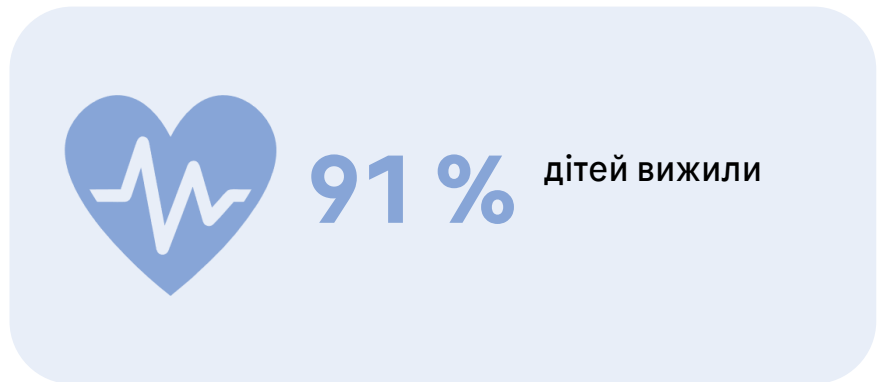
# Якими були характеристики дітей до початку лікування у дослідженні FIREFISH?

Оцінки були виконані на початку дослідження (початковий рівень) до застосування рисдипламу.  
Зведена вибірка включала 17 дітей із частини 1 та 41 дитину з частини 2, які отримували високу дозу рисдипламу.

## Зведена вибірка (58 дітей)



# Якими були результати у зведеній вибірці після 5 років лікування?



\*Постійна респіраторна підтримка визначається як **трахеостомія** або **ВіРАР** (вентиляція легень з двофазним позитивним тиском) протягом принаймні 16 годин на добу безперервно впродовж більше 3 тижнів або постійна **інтубація** впродовж більше 3 тижнів за відсутності або після розрешення гострого оборотного явища.  
**Трахеостомія** – це процедура, коли через шию в трахею вводиться спеціальна трубка. Вона допомагає повітрю надходити в легені.  
**ВіРАР** – це апарат, який забезпечує дихання із застосуванням лицьової маски.  
**Інтубація** – процедура, при якій спеціальна трубка вставляється через рот і проводиться вниз у трахею. Вона допомагає повітрю надходити в легені.



# Скільки дітей змогли сидіти без підтримки після 5 років лікування рисдипламом?



Більш докладну інформацію про ці показники фізичних можливостей див. у брошурі [«Основні відомості про MFM та SMAIS у контексті оцінки результатів при СМА»](#).

# Скільки дітей могли стояти і ходити після 5 років лікування ридипламом?



Більш докладну інформацію про показники моторного розвитку див. у брошурі [«Основні відомості про MFM та SMAIS у контексті оцінки результатів при СМА»](#).

BSID-III – шкали Бейлі для оцінки розвитку немовлят і дітей раннього віку, третє видання; HINE-2 – неврологічне обстеження немовлят за методом клініки Hammersmith, модуль 2.



# Скільки дітей могли ковтати та отримувати їжу через рот після 5 років лікування ридипламом?



**96 %**

(46 з 48 дітей)

могли ковтати.

**91 %**

(42 з 46 дітей)

могли споживати їжу через рот

**80 %**

(37 з 46 дітей)

могли споживати їжу через рот без будь-якої підтримки харчування.

- При оцінці ковтання та годування дітей оцінювалася їхня здатність їсти через рот і те, наскільки добре вони могли ковтати їжу чи напої.
- Підтримка харчування здійснювалася через зонд для годування.

# Інформація про побічні ефекти у дітей у дослідженні FIREFISH після 5 років лікування ридипламом

Дослідження **FIREFISH** вже завершено. Діти завершили лікування, яке тривало до 5 років.

Дані про побічні ефекти отримані зі зведеної вибірки дослідження **FIREFISH**, до якої увійшли всі діти з частини 1, які отримували високу дозу ридипламу, та всі діти з частини 2.

Побічними ефектами є медичні проблеми (як-от запаморочення чи нудота), що виникають під час дослідження.

Не всі побічні ефекти пов'язані з досліджуваним препаратом, деякі виникають випадково. Лікарі повідомляють компанію «Рош» про всі медичні проблеми, які виникли в учасників під час дослідження, щоб можна було виявити закономірності в кожного з них.

Важливо знати, що:

- Не у всіх учасників цього дослідження спостерігалися всі ці побічні ефекти.
- Побічні ефекти можуть бути незначними або серйозними і можуть відрізнятися у різних людей.
- Важливо розуміти, що побічні ефекти, про які повідомляється у цьому матеріалі, отримані в цьому конкретному дослідженні. Тому наведені тут побічні ефекти можуть відрізнятися від тих, що спостерігалися в інших дослідженнях або вказані в інструкції з медичного застосування лікарського препарату.

Серйозні та часті побічні ефекти, зареєстровані у дослідженні **FIREFISH**, наведені в розділах далі.

## Які були серйозні побічні ефекти в дослідженні FIREFISH?

Побічний ефект вважається «серйозним», якщо він загрожує життю, потребує лікування в лікарні або спричиняє тривалі проблеми.

Не всі зареєстровані серйозні побічні ефекти пов'язані з досліджуваним препаратом.

**У дослідженні FIREFISH у двох дітей були серйозні побічні ефекти, які, на думку лікарів-дослідників, були пов'язані із застосуванням риздипламу.**

**Це були інфекції альвеол у легенях (пневмонія) та нестача кисню в організмі (асфіксія).**

Серйозні побічні ефекти були зареєстровані у 47 з 58 дітей (81 %) у дослідженні FIREFISH.

Тут перелічені найбільш часті серйозні побічні ефекти.

Кожен із цих побічних ефектів був зареєстрований принаймні у чотирьох дітей.

Найбільш часті серйозні побічні ефекти	Відсоток дітей, у яких було зареєстровано цей побічний ефект
Інфекція альвеол у легенях (пневмонія)	45 % (26 з 58 дітей)
Утруднення дихання (респіраторний дистрес)	10 % (6 з 58 дітей)
Легенева інфекція, спричинена вірусом (вірусна пневмонія)	9 % (5 з 58 дітей)
Нестача кисню в організмі (дихальна недостатність)	7 % (4 з 58 дітей)

## Які були побічні ефекти в дослідженні FIREFISH?

Побічними ефектами є будь-які медичні проблеми (як-от запаморочення чи нудота), що виникають під час дослідження. Не всі зареєстровані побічні ефекти пов'язані з досліджуваним препаратом.

Тут перелічені найбільш часті побічні ефекти, зареєстровані у дослідженні **FIREFISH**.

Кожен із цих побічних ефектів був зареєстрований принаймні в 11 дітей.

Найбільш часті побічні ефекти	Відсоток дітей, у яких було зареєстровано цей побічний ефект
Інфекція носа, горла та носових пазух (інфекція верхніх дихальних шляхів) Лихоманка (пірексія)	<b>64 %</b> (37 з 58 дітей)
Інфекція альвеол у легенях (пневмонія)	<b>50 %</b> (29 з 58 дітей)
Запалення носа та горла (назофарингіт) Діарея	<b>28 %</b> (16 з 58 дітей)
Закреп	<b>26 %</b> (15 з 58 дітей)
Нудота (блювання) Кашель COVID-19 Нежить або закладеність носа, чхання (риніт)	<b>21 %</b> (12 з 58 дітей)
Запалення дихальних шляхів у легенях (бронхіт) Інфекція носа, горла та дихальних шляхів (інфекція дихальних шляхів)	<b>19 %</b> (11 з 58 дітей)

## Які були побічні ефекти, пов'язані з лікуванням рисдипламом?

У дослідженні **FIREFISH** лікарі зареєстрували побічні ефекти, які, ймовірно, були пов'язані з рисдипламом, у 11 з 58 дітей (19 %).

Найбільш часті побічні ефекти, пов'язані із застосуванням рисдипламу, перелічені нижче.

Кожен із цих побічних ефектів був зареєстрований принаймні у двох дітей.

Найбільш часті побічні ефекти, пов'язані з лікуванням рисдипламом	Відсоток дітей, у яких було зареєстровано цей побічний ефект
Кров у сечі ( <i>гематурія</i> )	5 % (3 з 58 дітей)
Інфекція альвеол у легенях ( <i>пневмонія</i> )	3 % (2 з 58 дітей)
Закреп	3 % (2 з 58 дітей)
Інфекція сечовивідних шляхів	3 % (2 з 58 дітей)
Зміна кольору шкіри	3 % (2 з 58 дітей)
Плоска червона ділянка на шкірі, вкрита невеликими пухирцями ( <i>макуло-папульозний висип</i> )	3 % (2 з 58 дітей)

## Як це дослідження допомогло людям, які живуть з СМА, та дослідникам?

Для такого захворювання, як СМА, в лікуванні якого залишаються прогалини та незадоволені потреби пацієнтів, дослідження можливих нових препаратів і різних способів їх застосування (наприклад, риздипламу – єдиного схваленого перорального препарату для лікування СМА) важливе для покращення результатів лікування та догляду за пацієнтами.

Результати дослідження **FIREFISH** дозволили вченим і людям, які живуть з СМА, краще зрозуміти вплив риздипламу на людей з СМА 1-го типу.

Дослідження риздипламу тривають, і плануються подальші дослідження.

Отримані результати дозволили підібрати найбільш ефективну дозу риздипламу для дітей з СМА 1-го типу та сприяли схваленню риздипламу органами охорони здоров'я для лікування СМА.

Риздиплам схвалений Управлінням з контролю якості продуктів і лікарських засобів США (Food & Drug Administration, FDA) для лікування СМА у дорослих і дітей.

Риздиплам схвалений Європейською комісією для лікування СМА у пацієнтів із СМА 1-го, 2-го чи 3-го типу або з копіями гена *SMN2* у кількості від однієї до чотирьох.

До цього короткого огляду увійшли результати всього дослідження **FIREFISH**. Діти отримували лікування риздипламом протягом періоду до 5 років.

Ці результати важливі для розуміння профілю безпеки риздипламу для лікування дітей з СМА 1-го типу.

Жодне дослідження не може надати нам всю інформацію про ризики та переваги препарату. Завжди консультуйтеся зі своїм лікарем, перш ніж приймати будь-які рішення щодо лікування.



## Додаткова інформація

### Де я можу отримати більше інформації?

Ви можете знайти більше інформації про це дослідження на вебсайтах, вказаних нижче:

- <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>

Повна назва цього дослідження: Відкрите багатоцентрове дослідження з безперервним дизайном, що складається з двох частин, для оцінки безпечності, переносимості, фармакокінетики, фармакодинаміки та ефективності препарату RO7034067 у дітей зі спінальною м'язовою атрофією 1-го типу.

Це дослідження також називається «**FIREFISH**».

Номер протоколу цього дослідження: BP39056.

Ідентифікатор цього дослідження на вебсайті ClinicalTrials.gov: NCT02913482.

Номер EudraCT для цього дослідження: 2016-000778-40.

Якщо Ви або Ваша дитина брали участь у цьому дослідженні та маєте будь-які запитання про його результати, поговоріть зі своїм лікарем або іншим медичним персоналом у Вашому дослідницькому центрі.

Якщо у Вас виникнуть будь-які інші запитання, зв'яжіться з місцевим представником компанії «Рош».

Адреса спонсора цього дослідження:

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

У попередніх документах був представлений короткий огляд результатів дослідження **FIREFISH** після того, як діти завершили 1 рік і 2 роки лікування ризидипламом.

Натисніть [тут](#), щоб ознайомитися з коротким оглядом даних за 1 рік.

Натисніть [тут](#), щоб ознайомитися з коротким оглядом даних за 2 роки.