



12 giugno 2024

Gentili membri della Comunità SMA,

Nell'ambito della nostra collaborazione continua e facendo seguito alla vostra richiesta di ricevere aggiornamenti sul programma di sviluppo clinico di Risdiplam▼ siamo lieti di condividere i seguenti aggiornamenti.

I risultati finali dello studio pivotale FIREFISH ([NCT02913482](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02913482)) sono stati presentati da Roche nel corso del Convegno Cure SMA 2024, tenutosi in Texas la scorsa settimana, segnando un importante traguardo nel percorso di sviluppo clinico della molecola.

I dati dello studio FIREFISH hanno confermato il profilo di efficacia e sicurezza di Risdiplam nel lungo periodo in 58 pazienti pediatrici con SMA di Tipo 1 sintomatica<sup>1</sup>. Dopo cinque anni di trattamento è stato evidenziato che:

- il 91% dei bambini trattati con Risdiplam era vivo al compimento del quinto anno di studio. Di questi, l'81% senza bisogno di ventilazione permanente.
- il 96% dei pazienti ha conservato le abilità deglutitorie e l'80% è stato in grado di nutrirsi senza supporti.
- La maggior parte dei bambini (59%) è riuscita a mantenere la posizione seduta senza supporto per almeno 30 secondi.
- Il tasso complessivo di eventi avversi si è ridotto del 66% tra l'inizio e la fine dello studio. I principali eventi avversi hanno riguardato infezioni delle vie respiratorie, febbre e polmonite.

La pubblicazione di questi dati segna la conclusione dello studio FIREFISH.

Vorremmo esprimere la nostra sincera gratitudine a tutte le persone, le famiglie e i membri della Comunità SMA. La vostra collaborazione, la vostra fiducia e il vostro continuo sostegno sono stati fondamentali per raggiungere questo importante traguardo. È un onore per noi far parte di questa Comunità e non vediamo l'ora di continuare la nostra collaborazione.

Per qualsiasi domanda su questo aggiornamento, non esitate a contattarci.

Cordiali saluti,

*Roche Italia SMA Team*

## Riferimenti

1. Mazurkiewicz-Beldzińska W, et al. FIREFISH Parts 1 and 2: 5-year efficacy and safety of risdiplam in Type 1 SMA. Presented at Cure SMA Research & Clinical Care Meeting 2024

▼Risdiplam è sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Agli operatori sanitari è richiesto di segnalare qualsiasi reazione avversa sospetta.