

ده سال همکاری و مشارکت در حوزه بیماری اس ام ای

در سال ۲۰۲۱ شرکت رش ۱۰ سالگی مشارکت خود با جامعه اس ام ای برای دستیابی به هدف مشترک که بهبود زندگی بیماران مبتلا به این بیماری نادر است را جشن گرفت

آنچه تا به امروز رخ داده است....

۲۰۱۱

شرکت رش با هدف کمک و استفاده از تکنولوژی های درمانی برتر کمپانی پی تی سی برای یافتن درمان نجات دهنده بیماران اس ام ای وارد همکاری با این شرکت و بنیاد اس ام ای شد.^{۱،۲}



“

Partnership excellence has been key to the SMA programme, with each partner contributing their unique capabilities and skills to the overall mix

Senior Vice President, Roche Global Head Neuroscience and Rare Diseases Clinical Development^۲



۲۰۱۵

محققان به این نتیجه رسیدند که تعدادی از این مولکول های تحقیقاتی احتمالاً موثر و ایمن نیست اما یکی از این مولکول ها نتایج امیدوار کننده ای نشان داد^{۳-۴}



این برنامه مطالعاتی توسط شرکایمان حمایت و با همکاری بیماران و جامعه درمانی طراحی شد که شامل:

- افراد مبتلا به تایپ های مختلف بیماری اس ام ای از تولد تا سن ۶۰ سالگی
- افراد مبتلا اما قبل از شروع علائم و انهایی که قبلاً با سایر درمان های این بیماری تحت معالجه بوده اند .
- افرادی که در سایر مطالعات حضور کمتری داشته اند و حتی کشور هایی که اغلب در این مطالعات شامل نمیشدند.^{۵-۱۱}

۵

اکتبر ۲۰۱۷

شاخص اندازه گیری میزان استقلال در اس ام ای (SMAIS) با همکاری بنیاد (CURE SMA, SMA EUROPE) و افرادی که با این بیماری درگیرند پایه گذاری شد^{۱۲}

این شاخص به منظور برآورده ساختن نیاز افراد درگیر با این بیماری برای حفظ استقلال ایجاد شد. این مقیاس یک شاخص بالینی است که سطح حمایت لازم برای انجام فعالیت های کوچکتر زندگی روزمره افراد مبتلا را اندازه گیری میکند^{۱۳}

SMAIS برای استفاده عموم محققین و کادر درمانی رایگان است

۶

۲۰۱۸

شرکت رش به برنامه آمادگی برای حضور در مطالعات بالینی بنیاد Cure SMA ملحق میشود تا راه حل های جدیدی را برای موارد زیر فراهم کند^{۱۴}

- همکاری مراکز تحقیقاتی علاقمند به مطالعات بیماری اس ام ای
- ارائه منابع ضروری برای بهینه سازی آمادگی لازم برای شرکت در مطالعات بالینی
- گسترش مدیریت مطالعات بیمار محور^{۱۵}



اگوست ۲۰۲۰

شرکت رش به کمپین اروپا برای تست غربالگری نوزادان تازه متولد شده به توسط بنیاد SMA EUROPE اداره میشود میپیوندد^{۱۶}

که دنبال موفقیت این طرح در آمریکا اروپا نیز تست غربالگری مربوط به شناسایی اس ام ای را تا سال ۲۰۲۵ برای همه تولد های زنده انجام خواهد داد^{۱۷}



۲۰۲۰

با ظهور پاندمی کووید -۱۹ در سال ۲۰۲۰ رش شرایط مطالعات بالینی خود را با توجه به اوضاع موجود و به منظور پاسخگویی به نیازهای جامعه جهانی تطبیق داد

بدین منظور تحویل داروها بدون نیاز به برقراری ارتباط و از طریق پرستار در درب منزل بیمار انجام گردید.



۲۰۲۰

۲۰۲۱

مارس ۲۰۲۱

مولکول کمپانی رش برای درمان بیماری اس ام ای در بالغین و کودکان ۲ ماه و بزرگتر از ۲ ماه توسط اتحادیه اروپا مورد تایید قرار گرفت^{۱۸}

“

I am very proud and thankful for everything we have collectively achieved so far and look forward to surmounting the challenges that lie ahead together, and excited to help co-create a better future for people with SMA

Global Head and SVP, Neuroscience and Rare Diseases Clinical Development at Roche



References

1. Roche. Roche signs agreement with PTC Therapeutics to advance treatment for Spinal Muscular Atrophy (SMA). Available at: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2011-11-29t.htm>. Last accessed: Mar 2021 2. Roche. The power of partnership. Available at: <https://www.roche.com/partnering/spinal-muscular-atrophy-sma-together.htm>. Last accessed: Mar 2021 3. Roche. A passion for impossible discovery. Available at: <https://www.roche.com/research-and-development/what-we-are-working-on/neuroscience/scientist-sma.htm>. Last accessed: Mar 2021 4. ClinicalTrials.gov: NCT02240355 (MOONFISH). Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02240355>. Last accessed: Mar 2021 5. SMA Schweiz. RG7800 Moonfish Memo. Available at: <https://www.sma-schweiz.ch/wp-content/uploads/2015/05/SG7800-Moonfish-memo.pdf>. Last accessed: Mar 2021 6. SMA Europe. Roche announces new clinical trial for RG7916 in spinal muscular atrophy. Available at: <https://www.sma-europe.eu/news/roche-clinical-trial-for-rg7916/>. Last accessed: Mar 2021 7. ClinicalTrials.gov: NCT02633709. Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02633709?term=RO7034067&draw=2&rank=2>. Last accessed: Mar 2021 8. ClinicalTrials.gov: NCT02908685 (SUNFISH). Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685?term=RO7034067&draw=2&rank=1>. Last accessed: Mar 2021 9. ClinicalTrials.gov: NCT02913482 (FIREFISH). Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02913482?term=RO7034067&draw=2&rank=3>. Last accessed: Mar 2021 10. ClinicalTrials.gov: NCT03032172 (JEWELFISH). Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03032172?term=RO7034067&draw=2&rank=1>. Last accessed: Mar 2021 11. ClinicalTrials.gov: NCT03779334 (RAINBOWFISH). Available at: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03779334?term=rainbowfish&draw=2&rank=1>. Last accessed: Mar 2021 12. Genentech. Measuring the SMA experience. Available at: <https://www.genentech.com/stories/measuring-the-sma-experience>. Last accessed: Mar 2021 13. Peterson J, et al. The SMA Clinical Readiness Program: creation and evaluation of a program to enhance SMA trial readiness in the United States. Orphanet J Rare Dis. 2020; 15:118 14. Cure SMA. Compass Spring 2018. Newborn Screening Requirement for SMA to Accelerate Diagnosis. Available at: <https://www.curesma.org/wp-content/uploads/2019/07/compass-spring-2018.pdf>. Last accessed: Mar 2021 15. Cure SMA. Cure SMA Newborn Screening for SMA. Available at: <https://www.curesma.org/newborn-screening-for-sma/>. Last accessed: Mar 2021 16. SMA Europe. Newborn screening. Available at: <https://www.sma-europe.eu/or-advocacy/newborn-screening/>. Last accessed: Mar 2021 17. Roche. FDA approves Roche's Evrysdi (risdiplam) for treatment of spinal muscular atrophy (SMA) in adults and children 2 months and older. Available at: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2020-08-10b.htm>. Last accessed: Mar 2021 18. U.S. Food & Drug Administration. FDA Approves Oral Treatment for Spinal Muscular Atrophy. Available at: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-oral-treatment-spinal-muscular-atrophy>. Last accessed: Mar 2021 19. Roche. Roche's Evrysdi approved by European Commission as first and only at home treatment for spinal muscular atrophy. Available at: <https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2021-03-30.htm>. Last accessed: Apr 2021