

Biogen apresenta novos dados ENDEAR mostrando SPINRAZA (nusinersen) reduz significativamente o risco de morte ou ventilação permanente.

Biogen apresentou novos dados do estudo ENDEAR da fase 3 de SPINRAZA™ (nusinersen), que demonstraram uma redução estatisticamente significativa no risco de morte ou ventilação permanente em lactentes tratados com SPINRAZA com atrofia muscular espinhal (SMA), em comparação com os não tratados. Os dados foram apresentados na conferência anual da British Pediatric Neurology Association (BPNA) em Cambridge, Reino Unido, de 11 a 13 de janeiro de 2017.

Em agosto de 2016, Biogen relatou que ENDEAR atingiu seu objetivo primário pré-especificado na análise interina, a proporção de respondedores de milestone motor medida pelo Hammersmith Infant Neurological Examination (HINE). Após a análise interativa positiva, Biogen terminou o estudo cedo para que todos os participantes poderiam ter a opção de receber SPINRAZA em um estudo de extensão aberto. Hoje, Biogen forneceu a primeira apresentação do parâmetro primário pré-especificado, tempo até a morte ou ventilação permanente, a partir do final da análise (EOS). Os resultados da EOS apresentados no BPNA incluem dados da visita de estudo final dos pacientes, que ocorreram após o anúncio de que o estudo estava sendo interrompido e não fazia parte da análise interina.

"Embora o ENDEAR tenha sido interrompido precocemente com base em resultados provisórios positivos, o estudo ainda demonstrou que um número significativamente maior de crianças tratadas com SPINRAZA sobreviveram e não necessitaram de ventilação permanente, além de ressaltar o impacto que SPINRAZA pode ter em indivíduos que vivem com esta devastadora doença", disse Wildon Farwell, MD, MPH, diretor médico sênior, Desenvolvimento Clínico, Biogen. "Estamos muito encorajados que as pessoas com SMA já tenham iniciado o tratamento com SPINRAZA esta semana nos EUA, e continuamos a trabalhar em estreita colaboração com as agências reguladoras para levar esta terapia aos pacientes em todo o mundo o mais rapidamente possível".

SPINRAZA atingiu o desfecho primário pré-especificado na EOS ENDEAR, demonstrando uma redução estatisticamente significativa de 47% no risco de morte ou ventilação permanente (p

Mais sobre Spinraza

Em 23 de dezembro, a FDA anunciou que tinha aprovado SPINRAZA™ (nusinersen) para tratar atrofia muscular espinhal, tornando-se a primeira terapia FDA-aprovada para SMA.

De 2003 a 2006, o Cure SMA forneceu o primeiro financiamento de pesquisa necessário para iniciar a investigação desta abordagem terapêutica. Agradecemos aos Drs. Ravindra Singh e Elliot Androphy da Universidade de Massachusetts Medical School para o seu trabalho financiado pela Cura SMA em originalmente indentifying a seqüência do gene ISSN1, que é a seqüência alvo de Spinraza. Nós reconhecemos Drs. Adrian Krainer, Yimin Hua e colegas no Cold Spring Harbor Laboratory para gerar a propriedade intelectual crítica. Todo esse trabalho foi então licenciado para Ionis Pharmaceuticals para criar a terapia anti-sentido, SPINRAZA.

O programa foi então licenciado para Biogen. Juntamente com a Ionis, a Biogen trabalhou para desenvolver e implementar um programa abrangente de testes clínicos que forneceria tanto a rota de quickets para aprovação como os dados de alta qualidade necessários para suportar um rótulo e acesso amplos.

Próximos passos

Biogen também anunciou ontem que o primeiro paciente já recebeu a primeira dose comercial SPINRAZA. Isto marca o verdadeiro início de uma fase chave para garantir que mais pacientes possam ter acesso ao SPINRAZA.

Estamos entusiasmados com o fato de que os pacientes estão agora ganhando acesso comercial real à primeira terapia aprovada para SMA e sabem que ainda há mais trabalho para garantir que o tratamento esteja

Matéria Íntegra: <http://www.curesma.org/news/biogen-presents-new-endear.html>

Fonte: Cure SMA