

Vážení, v příloze naleznete 6 odpovědí na naše zbývající otázky pro GSK. Pravděpodobně se k vám již dostaly jinou cestou, ale posílám pro jistotu i takto, aby se odpovědi určitě dostaly k vám všem.

S přátelským pozdravem

Elizabeth Vroom
UPPMD



United Parent Projects
Muscular Dystrophy

GSK Q&A pro organizace hájící zájmy pacientů: 28 října 2013

Pouze pro použití v rámci zodpovídání dotazů patientských skupin



GlaxoSmithKline

- 1. Fáze 3 základní test 6min chůze u chlapců mladších 7 let a starších 7 let. Samozřejmě také údaje o dystrofinu z fáze 2 - veškeré údaje, prosíme. Fáze 2 základní testy studie pro USA 6min test chůze, výsledky pro každou skupinu (všichni, tj. mladší 7 let a starší 7 let) a 6min test chůze na konci studie také lipoatrofie pro každou ze skupin.**

Výsledky fáze III studie DMD114044 byly prezentovány na zasedání společnosti World Muscle v říjnu 2013. Výsledky testů 6MWD (m) v rámci skupiny chlapců ≤ 7 let (věk v době testů) byly: placebo, 382,78m; 6mg/kg/týden 367,95 m. Základní testy 6MWD (m) ve skupině chlapců ve věku ≥ 7 let (věk v době testů) byly: placebo, 316,48 m; 6mg/kg/týden, 316,46 m.

Výsledky americké studie DMD114876 byly prezentovány na zasedání DIA/FDA Oligonucleotide, konaném v září 2013. Výchozí výsledky testů 6MWD pro každou skupinu byly: placebo, 416,4 m, 3 mg/ kg/týden, 415,2; 6 mg/kg/týden, 396,2 metrů. Rozdíl oproti placebo po 24 týdnech byl: 3 mg / kg / týden, - 8,9 m (p = 0,55); 6 mg / kg / týden, 27,1 m (p = 0.069). Tyto výsledky nebyly prezentovány podle věkové skupiny.

Dystrofinové údaje z klinické studie fáze II (DMD114117) byly analyzovány a byly představeny na světovém kongresu Muscle Society v říjnu 2013, a jsou připraveny k publikaci v recenzovaném časopise. Souhrn výsledků pro studii 114117 je zahrnut v registru klinické studie, zveřejněném na www.gsk.com. Když jste na stránkách: vpravo dole klikněte na tlačítko „clinical study register“, pak na „find a result summary“. Shrnutí je vyvěšeno pod číslem '114117 '

Dystrofinové údaje pro fázi II této americké studie (DMD 114876) se v současné době shromažďují a budou k dispozici v blízké budoucnosti.

- 2. Říká se, že biopsie ještě nebyly analyzovány. Jak je to možné ... můj syn má za sebou dvě biopsie během loňského roku. Jak obtížné je analyzovat vzorky od 186 chlapců?**

GSK oceňuje veškeré přínosy, za které vděčí chlapcům a jejich rodinám v rámci studií s drisapersenem a děkuje jim za jejich čas a úsilí. Všechny dostupné biopsie v rámci studie

114044 byly zpracovány pro měření biomarkerů a příslušné testy byly provedeny mezi květnem a zářím 2013. Údaje budou uvedeny na příslušných vědeckých konferencích a připraveny k publikaci v odborníky recenzovaném časopise. V rámci zajištění rozpoznání hodnoty těchto vzorků byla tkáň zachována i pro další měření v době, až se objeví další testování biomarkerů, a zjištění budou ověřována.

- 3. Slyšel jsem, že někdo z GSK tvrdí, že místo volby subkutánní injekce mohlo být zvoleno intravenózní podání (jako u eteplirsenu). Už se to vlastně někdy vůbec zkoušelo, a vědí, zda by to bylo bezpečné (zda by se podařilo vyhnout tomu promáčknutí - "lipoatrofii")**

Subkutánní podání bylo vybráno po důkladném předklinickém a klinickém výzkumu, včetně studie PRO051-01, která byla otevřenou studií s jednou dávkou, kdy byl lék podán intramuskulárně (Im), a také studie PRO051-02, která byla otevřená, s opakováním dávky, a jejím zvýšením, s ohledem na subkutánní (Sk) podání. Intravenózní způsob podání byl zkoumán v rámci probíhající otevřené studie DMD114673 (pokračování původní studie PRO051-02) a předběžné údaje naznačují, že tento způsob podání může být proveditelný, avšak toto šetření nebylo ještě dokončeno.

- 4. Slyšel jsem, že během studie byli někteří z pacientů hospitalizováni. Platila jejich výdaje GSK a proto chce, aby se zabránilo větším finančním závazkům v budoucnu, i když pacientům testovaná léčba prospívá?**

Malý počet chlapců v rámci klinického programu vyžadoval hospitalizaci pro usnadnění jejich léčby a zotavení spojené s jejich studijní účastí. GSK platí za rozumnou a nezbytnou péči, pokud je subjekt zraněn zkoumanou látkou nebo postupem, který se provádí v rámci studie.

- 5. Rozhodnutí společnosti Prosensa pokračovat, ačkoliv je velmi pozitivní, bude představovat problém pro tým GSK. Sloučenina byla od počátku experimentu dále optimalizována, a je upravena pro každý jednotlivý exon. Exony jsou velmi obtížně srovnatelné. Je nutné, aby zprávy od obou společností, pracujících na stejné chemické linii, byly v souladu.**

GSK a Prosensa koordinují své úsilí s ohledem na další analýzy údajů ze studie a také s ohledem na probíhající práce v rámci naší spolupráce týkající se dalších exonů. Budeme i nadále úzce spolupracovat s Prosensou, abychom plně pochopili výsledky z klinického programu. Na 15. říjen je připraven webový seminář GSK / Prosensa pro pacienty. Webinář je uspořádán pro advokacii komunity pacientů, a jeho cílem je poskytnout aktuální informace jak o drisapersenu tak i o látkách společnosti Prosensa, a poskytnout také prostor pro dotazy chlapců a rodin.

- 6. Moje poslední otázka a komentář se týká dialogu farmaceutických společností s regulačními orgány ohledně jejich látek a rovněž ohledně technologie exon skippingu**

jako platformy obecně. Například zda dojde ke zpoždění regulačních milníků u dalších chemických sloučenin v rámci výzkumu. Mohou to nějak blíže osvětlit?

Vzhledem k tomu že primární koncový bod nebyl ve studii DMD114044 splněn, musíme nejprve dále vyhodnotit data, a pak dojde k rozhodnutí ohledně našich regulačních plánů.

GSK není schopen komentovat léky, které patří jiné společnosti.

GSK Q&A pro organizace hájící zájmy pacientů: 28 října 2013

Pouze pro použití v rámci zodpovídání dotazů patientských skupin

