

от 23 июля 2025 г.

Уважаемые члены Всемирной организации миодистрофии Дюшенна,

В ответ на ваш запрос об обновлениях нашей программы в отношении мышечной дистрофии Дюшенна мы публикуем данное письмо для целевого сообщества.

На прошлой неделе FDA обратилось с просьбой к компании Sarepta добровольно прекратить в США все поставки деландистрогена моксепарвоэка. Мы также безотлагательно приступили к определению мер, которые необходимо принять на территориях, подконтрольных компании Roche, за пределами США.

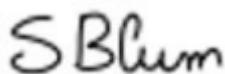
После тщательного рассмотрения вопроса компания Roche приняла решение о добровольной временной приостановке всех новых заказов на деландистроген моксепарвоэков в страны за пределами США, которые обращаются в FDA для получения разрешения на локальное применение препарата, а также в страны, где действует система снабжения пациентов по индивидуальному назначению (NPS). Эта приостановка распространяется на пациентов с мышечной дистрофией Дюшенна, способных передвигаться самостоятельно, поскольку ранее мы прекратили лечение пациентов, неспособных передвигаться самостоятельно.

Безопасность пациентов — главный приоритет компании Roche. Основываясь на совокупности имеющихся данных, Roche считает, что соотношение пользы и риска остается положительным для амбулаторных пациентов с мышечной дистрофией Дюшенна. Таким образом, в странах, где препарат Элевидис не регистрируется в FDA и где он одобрен (Бразилия и Япония), Roche продолжит поставлять деландистроген моксепарвоэков для лечения амбулаторных пациентов в соответствии с местным законодательством.

Компания Roche выясняет причины, по которым FDA запросило приостановку поставки препарата амбулаторным пациентам, и взаимодействует с соответствующими органами здравоохранения по всему миру для определения дальнейших возможных действий. Мы понимаем, какое глубокое влияние это окажет на сообщество пациентов с мышечной дистрофией Дюшенна, особенно на семьи, ожидающие лечения, и понимаем, что у вас могут возникнуть вопросы по поводу данной информации. Мы включили несколько вопросов и ответов (см ниже) и готовы помочь, если у вас будут еще вопросы.

Благодарим вас за постоянное партнерство, мы делаем все возможное для содействия пониманию и реализации этих мер.

Искренне,



Сандра Блум, от имени команды Roche Global DMD,
руководитель отдела глобального партнерства с пациентами

M-XX-00021296, Июль 2025 г.

Часто задаваемые вопросы

Я уже получил лечение деландистрогеном моксепарвокеом. Стоит ли мне беспокоиться?

- Программа клинических исследований препарата деландистроген моксепарвокеом показала, что это лечение может способствовать стабилизации или замедлению прогрессирования заболевания, а также улучшению двигательных функций, обеспечивая стабильный и контролируемый профиль безопасности. Значительная польза, которую можно извлечь из лечения деландистрогеном моксепарвокеом, привела к получению многочисленных разрешений регулирующих органов по всему миру.
- По любым вопросам, касающимся предыдущего лечения деландистрогеном моксепарвокеом, обращайтесь к своему лечащему врачу по месту жительства.

Что произойдет, если лечение запланировано, но мы передумали его проводить?

- Мы рекомендуем вам обсудить вашу ситуацию с вашим лечащим врачом, поскольку он может лучше всего работать вместе с вами и вашей семьей, чтобы решить, что лучше для вас.

Как долго, по вашему мнению, продлится эта пауза? Возобновите ли вы приём новых заказов на лечение деландистрогеном моксепарвокеом?

- На данный момент у нас нет ответа на вопрос, как долго продлится эта пауза.
- Мы можем сказать вам, что будем делиться важными обновлениями и объявлениями как с сообществом пациентов с мышечной дистрофией Дюшенна, так и с врачами по мере их поступления.

перевод письма выполнен медицинским директором фонда «Гордей» Т.А. Гремяковой