Caros membros da Comunidade AME

Fevereiro 2020

Como parte de nossa parceria e dando seguimento à sua solicitação para receber informações sobre o programa de desenvolvimento clínico de risdiplam, temos o prazer de compartilhar com você que a Agência Nacional de Vigilância Sanitária do Brasil (ANVISA) aceitou a submissão do dossiê para avaliação de risdiplam para uso em pessoas com atrofia muscular espinhal (AME). A ANVISA concedeu a submissão do dossiê via análise de medicamentos para doenças raras, o que significa que a agência provavelmente concluirá a análise do documento em até 6 meses, ao invés dos 12 meses padrão. Espera-se que a ANVISA profira sua decisão sobre a aprovação regulatória até agosto de 2020.

O dossiê de risdiplam incorpora dados de 12 meses da Parte 1 (fase II) dos estudos FIREFISH e SUNFISH para determinação da dose de risdiplam, bem como dados da parte 2 (fase III) do estudo SUNFISH, confirmatória de eficácia.

Além da ANVISA, estamos trabalhando com autoridades de saúde de todo o mundo com o objetivo de submeter as avaliações para o registro de risdiplam seguindo as normas vigentes. Nos Estados Unidos o dossiê foi submetido à *Food and Drug Administration* (FDA) e temos a expectativa de aprovação para o mês de maio de 2020; na Europa a solicitação de registro de risdiplam junto à *European Medicines Agency* (EMA) deve ser feita até meados de 2020. Em todas as submissões regulatórias, temos buscado indicação ampla para o tratamento da AME, em pacientes pediátricos e adultos. Também estamos colaborando com todas agências reguladoras ao longo do nosso programa de desenvolvimento clínico.

Os avanços na ciência médica só são significativos quando alcançam as pessoas que precisam deles. Como uma empresa impulsionada pelo potencial de melhorar a vida de pacientes e familiares afetados pela AME, estamos muito empolgados em dar o próximo passo em direção à disponibilização de risdiplam para todos pacientes que poderão se beneficiar do tratamento.

Agradecemos a todos da comunidade, especialmente aos pacientes e famílias que participam de nossos estudos, bem como os grupos de pacientes em todo o mundo que apoiaram e trabalharam conosco para alcançar esse marco. Nossa jornada para desenvolver tratamentos para pessoas com AME continua sendo inspirada por você.

Se tiver alguma dúvida, por favor não hesite em nos contatar.

Atenciosamente,

Roche Brasil