



SMA Schweiz

Zusammen für eine Zukunft

1. SMA Schweiz Tag

www.sma-schweiz.ch

Nottwil, 13. Mai 2017



Therapeutische Pipeline

	Stand der klinischen Studien				Therapieansatz		Firmen
	Phase I	Phase II	Phase III	Zulassung	Wirkstoff	Wirkungsweise	
Spinraza (Nusinersen)					Antisense Oligonukleotid (Lumbalpunktion)	Korrektur des Splicing-Mechanismus des SMN2-Gens (im ZNS) führt zur Steigerung der Produktion des SMN-Proteins	Biogen, Ionis
TRO19622 (Olesoxime)					Neuroprotektor (orale Abgabe)	Neuronen (Nervenzellen)	Roche (vorher Trophos)
CK-2127107					Muskelaktivator (orale Abgabe)	Muskelzellen	Cytokinetics, Astellas
LMI070					Kleines Molekül "small molecule" (orale Abgabe)	Korrektur des Splicing-Mechanismus des SMN2-Gens führt zur Steigerung der Produktion des SMN-Proteins	Novartis
RG7916					Kleines Molekül "small molecule" (orale Abgabe)	Korrektur des Splicing-Mechanismus des SMN2-Gens führt zur Steigerung der Produktion des SMN-Proteins	Roche, PTC, SMA Foundation
AVXS-101					SMN-Gen; Gentherapie (intravenöse Injektion)	Einschleusen des SMN1-Gens ins ZNS führt zur Steigerung der Produktion des SMN-Proteins	Avexis

* FDA (US-Arzneimittelagentur) Zulassung: 23.12.2016; EMA (Europäische Arzneimittelagentur) und Swissmedic Zulassung: offen

EAP: Early Access Programme = Härtefallprogramm; Abgabe des Wirkstoffes vor der eigentlichen Zulassung bei besonders schwer verlaufenden Krankheiten
 SMN: Survival Motor Neuron
 ZNS: Zentrales Nervensystem

Weitere Forschungsprojekte sind in vorklinischen Studien und hier nicht aufgeführt.

Stand: Februar 2017

Quelle: <https://clinicaltrials.gov> und www.sma-schweiz.ch