

Cari membri di SMA Europe,

facendo seguito alla vostra richiesta di aggiornamenti sul nostro programma di sviluppo clinico per la SMA, desidero condividere oggi la notizia della difficile decisione di non far avanzare **emugrobart** (un anticorpo anti-miostatina sperimentale, noto anche come GYM329) alla Fase III di sviluppo per la SMA.

La decisione di interrompere lo sviluppo clinico di emugrobart nella SMA fa seguito a una valutazione delle evidenze emerse dalla Parte 1 dello studio **MANATEE** (NCT05115110) – uno studio globale di Fase II/III in due parti volto a valutare la sicurezza e l'efficacia di emugrobart (GYM329) in combinazione con risdiplam. Sfortunatamente, emugrobart non ha prodotto in modo costante i miglioramenti che speravamo nella crescita muscolare e nella funzione motoria rispetto al trattamento con il solo risdiplam nelle persone affette da SMA. Questa decisione non è il risultato di alcun riscontro relativo alla sicurezza.

Siamo consapevoli che questa notizia sarà motivo di delusione per la comunità SMA. Siamo profondamente grati ai partecipanti allo studio, ai loro caregiver e ai centri di sperimentazione per il loro contributo a questa importante ricerca. Vorremmo anche cogliere questa opportunità per esprimere i nostri sinceri ringraziamenti a SMA Europe per il supporto e la costante consulenza riguardo allo sviluppo clinico di emugrobart. La vostra competenza è stata preziosa in questo percorso.

Roche rimane impegnata nel promuovere cure di qualità per le persone affette da SMA e prevediamo di condividere i dati della Parte 1 di MANATEE in occasione di un prossimo congresso medico, affinché questa ricerca possa contribuire a informare lo sviluppo di futuri trattamenti.

In caso di domande sulle informazioni fornite, non esitate a contattarci.

Cordiali saluti,



Louisa Townson, per conto del Team Global SMA di Roche

Global Patient Partnership

---

## Domande Frequenti (FAQ)

### Cosa ha analizzato lo studio MANATEE?

- Lo studio clinico MANATEE è stato progettato come uno studio di Fase II/III in due parti per valutare la sicurezza, l'efficacia, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica di emugrobart in combinazione con risdiplam per il trattamento di persone di età compresa tra 2 e 25 anni affette da SMA.
  - **La Parte 1** (Fase II) era la fase di determinazione del dosaggio in bambini con SMA deambolanti (2-10 anni) o non deambolanti (5-10 anni).
  - **La Parte 2** dello studio (la fase registrativa di Fase III) non era ancora stata avviata, poiché il suo inizio era subordinato al successo della Parte 1.

## **Perché lo studio MANATEE è stato interrotto? È dovuto a problemi di sicurezza?**

- Lo studio MANATEE non è stato interrotto a causa di riscontri sulla sicurezza; emugrobar è stato ben tollerato, senza eventi avversi gravi che abbiano portato all'interruzione del trattamento.
- Lo studio è stato interrotto a seguito di una rigorosa analisi dei risultati della Parte 1, che ha mostrato come emugrobar in combinazione con risdiplam non abbia migliorato in modo significativo la funzione motoria nelle coorti deambulanti e non deambulanti rispetto al trattamento con il solo risdiplam.

## **Cosa accadrà ai partecipanti coinvolti nello studio MANATEE?**

- Se siete caregiver di un partecipante allo studio MANATEE, vi invitiamo a contattare il medico dello studio per ulteriori informazioni e per i prossimi passi.
- Stiamo collaborando con i medici sperimentatori per garantire una transizione fluida e sicura, che comporterà l'interruzione di emugrobar e le valutazioni di follow-up sulla sicurezza. Per i partecipanti residenti in paesi in cui risdiplam non è rimborsato, potremmo supportare l'accesso continuativo a risdiplam come previsto dal protocollo dello studio MANATEE.
- Riconosciamo il prezioso contributo dato dai partecipanti per il progresso della scienza medica e, sebbene questa decisione non sia stata presa alla leggera, garantiremo che venga gestita con cura e responsabilità.

M-XX-00023236

Date of preparation: March 2026