

Grenzach-Wyhlen, 20. März 2026

Liebe Mitglieder der SMA-Community in Deutschland,

gemäß Ihrem Wunsch nach Updates zu unserem klinischen Entwicklungsprogramm für SMA teilen wir Ihnen heute die Nachricht mit, dass wir die schwierige Entscheidung getroffen haben, Emugrobart (ein investigativer Anti-Myostatin-Antikörper, auch bekannt als GYM329) nicht in die Phase-III-Entwicklung für SMA zu überführen.

Die Entscheidung, die klinische Entwicklung von Emugrobart bei SMA zu beenden, folgt auf eine umfassende Bewertung der Gesamtevidenz aus Teil 1 der MANATEE-Studie ([NCT05115110](#)) – einer zweiteiligen, globalen Phase-II/III-Studie zur Bewertung der Sicherheit und Wirksamkeit von Emugrobart (GYM329) in Kombination mit Risdiplam.

Leider führte Emugrobart im Vergleich zur alleinigen Behandlung mit Risdiplam bei Menschen mit SMA nicht durchgängig zu den erhofften Verbesserungen des Muskelwachstums und der Motorik. Diese Entscheidung war nicht das Ergebnis von Sicherheitsbedenken.

Wir sind uns bewusst, dass diese Nachricht für die SMA-Gemeinschaft enttäuschend sein wird. Unser tiefer Dank gilt den Studienteilnehmern, ihren Betreuungspersonen und den Prüfbüros für ihren Beitrag zu dieser wichtigen Forschung. Ebenso danken wir SMA Europe herzlich für die Unterstützung und die kontinuierliche Beratung während der klinischen Entwicklung von Emugrobart. Ihre Expertise war auf diesem Weg von unschätzbarem Wert.

Roche setzt sich weiterhin für die Förderung einer qualitativ hochwertigen Versorgung von Menschen mit SMA ein. Wir planen, die Daten aus MANATEE Teil 1 auf einer kommenden medizinischen Konferenz zu präsentieren, damit diese Forschungsergebnisse auch dazu beitragen können, die Entwicklung zukünftiger Behandlungen zu unterstützen.

Sollten Sie Fragen zu diesen Informationen haben, zögern Sie bitte nicht, uns zu kontaktieren.

Mit freundlichen Grüßen

*Susann Peters*

Susann Peters  
Patient Partnership Lead SMA

*Philipp Häberli*

Philipp Häberli  
Integrated Strategy Lead  
Neuromuskuläre Erkrankungen

## Häufig gestellte Fragen

### **Was wurde in der MANATEE-Studie untersucht?**

- Die MANATEE-Studie war als zweiteilige Phase-II/III-Studie konzipiert, um Sicherheit, Wirksamkeit, Verträglichkeit sowie die Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von Emugrobart, einem in der Erprobung befindlichen Anti-Myostatin-Antikörper, in Kombination mit Risdiplam bei Menschen mit SMA im Alter von 2 bis 25 Jahren zu untersuchen.
  - Teil 1 war der Phase-II-Teil zur Dosisfindung bei Kindern mit SMA, die entweder gehfähig (2–10 Jahre) oder nicht gehfähig (5–10 Jahre) sind.
  - Teil 2 der Studie (der zulassungsrelevante Phase-III-Teil) wurde nicht begonnen, da dieser einen erfolgreichen Abschluss von Teil 1 vorausgesetzt hätte.

### **Warum wurde die MANATEE-Studie abgebrochen? Liegt es an Sicherheitsbedenken?**

- Die MANATEE-Studie wird nicht aufgrund von Sicherheitsbefunden abgebrochen. Emugrobart war gut verträglich, und es traten keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse auf, die zu Studienabbrüchen führten.
- Die Beendigung der MANATEE-Studie erfolgt nach einer strengen Analyse der Ergebnisse aus Teil 1, die zeigten, dass Emugrobart in Kombination mit Risdiplam die motorische Funktion in den Gruppen der gehfähigen und nicht gehfähigen Patienten im Vergleich zur alleinigen Risdiplam-Gabe nicht signifikant verbesserte.

### **Was passiert mit den Teilnehmern, die an der MANATEE-Studie beteiligt waren?**

- Wenn Sie eine Betreuungsperson eines MANATEE-Teilnehmers sind, bitten wir Sie, sich für weitere Informationen und detaillierte nächste Schritte an Ihren Studienarzt zu wenden.
- Wir arbeiten eng mit den Studienärzten zusammen, um einen reibungslosen und sicheren Übergang zu gewährleisten; dies umfasst das Absetzen von Emugrobart sowie Sicherheitsnachuntersuchungen. Für Teilnehmer, in deren Ländern Risdiplam nicht erstattet wird, können wir den weiteren Zugang zu Risdiplam gemäß dem MANATEE-Studienprotokoll unterstützen.
- Wir wissen den wertvollen Beitrag der Studienteilnehmer zum medizinischen Fortschritt sehr zu schätzen. Obwohl uns diese Entscheidung nicht leicht gefallen ist, werden wir sicherstellen, dass sie mit Sorgfalt und Verantwortung umgesetzt wird.