

Oak Hill Bio conclut un accord de licence exclusif avec Roche afin d'obtenir les droits mondiaux pour un traitement potentiel de premier ordre, prêt pour la phase 3, destiné aux personnes atteintes du syndrome d'Angelman.

15 avril 2025

Le rugonersen, un nouvel oligonucléotide antisens ARN (ASO), a le potentiel pour devenir le premier traitement de fond approuvé pour une maladie affectant 500 000 personnes dans le monde.

Des résultats d'efficacité clinique encourageants sur des critères exploratoires liés à la fonction cérébrale et à des mesures de la cognition et de la communication justifient la poursuite des investigations.

L'étude pivot de phase 3 devrait être lancée au début de l'année 2026.

Cambridge, Massachussets, USA, 15 avril 2025 – Oak Hill Bio, une société de biotechnologie axée sur l'acquisition et le développement de produits thérapeutiques pour les maladies rares, a conclu un accord de licence exclusif avec Roche (SIX : RO, ROG ; OTCQX : RHHBY) pour obtenir les droits mondiaux sur le *rugonersen* (RO7248824). Le *rugonersen* est un ASO conçu comme un traitement potentiel pour les personnes atteintes du syndrome d'Angelman, une maladie génétique rare du développement neurologique pour laquelle il n'existe pas de traitement modificateur de la maladie. Oak Hill prévoit de lancer une étude de phase 3 au début de l'année 2026.

"Nous sommes très enthousiastes à l'idée de nous lancer dans ce programme. Nous sommes incroyablement impressionnés par la recherche rigoureuse menée par Roche et par les données cliniques prometteuses générées à ce jour", a déclaré Josh Distler, directeur général d'Oak Hill. « Nous avons également été touchés par le dévouement des patients, des familles et des chercheurs de la communauté Angelman et nous sommes impatients de travailler en étroite collaboration avec eux pour évaluer pleinement le potentiel du *rugonersen* à améliorer la vie des personnes atteintes du syndrome d'Angelman et de leurs familles. »

« Je suis très heureuse que le développement du *rugonersen* se poursuive », a déclaré Elizabeth Berry-Kravis, M.D., Ph.D., neurologue pédiatrique et investigateur principal de l'essai TANGELO au Rush University Medical Center. "Beaucoup de nos participants à l'essai ont eu des améliorations significatives pendant l'essai du *rugonersen*, et les résultats de TANGELO suggèrent des gains développementaux et fonctionnels dans de multiples domaines par rapport à l'histoire naturelle. Nous sommes très heureux que les bénéfices potentiels du *rugonersen* continuent d'être évalués pour ces patients et d'autres patients atteints du syndrome d'Angelman".

Le syndrome d'Angelman touche environ 500 000 personnes dans le monde. Il se manifeste généralement au cours de la petite enfance et se caractérise par des problèmes cognitifs et de développement, notamment des difficultés d'expression et de communication, des troubles moteurs, des problèmes d'équilibre et des crises d'épilepsie invalidantes. La maladie est causée par une perte de fonction du gène UBE3A hérité de la mère.

"Nous sommes incroyablement enthousiastes et profondément reconnaissants de voir Oak Hill s'engager à poursuivre le programme *rugonersen* pour le syndrome d'Angelman. Nous, ainsi que les

aidants et les soignants, avons vu le potentiel du *rugonersen* pour aider les personnes atteintes du syndrome d'Angelman. Il s'agit d'un signal fort pour notre communauté qui s'est battue sans relâche pour obtenir des progrès. Le fait de savoir que ce travail se poursuivra est très important. Nous sommes reconnaissants à Oak Hill pour son engagement envers la communauté et pour avoir reconnu les besoins urgents et non couverts des personnes avec le syndrome d'Angelman. La communauté est prête à soutenir cet effort important de toutes les manières possibles", ont déclaré Amanda Moore (PDG, Angelman Syndrome Foundation, ASF) et Ryan Fischer (Directeur des Operations, Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics, FAST).

À propos du *rugonersen*

Le *Rugonersen* est un nouvel oligonucléotide antisens ARN (ASO) développé comme option thérapeutique potentielle pour les personnes atteintes du syndrome d'Angelman, une maladie génétique rare du développement neurologique qui affecte le système nerveux central et provoque de graves handicaps physiques et cognitifs.

Le *rugonersen* a été conçu pour modifier le phénotype de la maladie en stimulant l'expression de la version paternelle du gène UBE3A. Dans l'étude TANGELO, une étude ouverte, non randomisée et adaptative dirigée par Roche, le *rugonersen* a démontré des effets exploratoires encourageants par rapport à l'histoire naturelle sur de multiples mesures cliniques et sur un biomarqueur pharmacodynamique de la fonction cérébrale, la puissance des ondes delta de l'électroencéphalogramme (EEG). Ces données ont été présentées lors du sommet scientifique mondial annuel de FAST en novembre 2024. Oak Hill estime que ces résultats confirment le potentiel du *rugonersen* à traiter plusieurs domaines pathologiques.

Dans l'attente de l'examen du protocole final de la phase 3 par les autorités réglementaires, Oak Hill prévoit d'initier un essai pivot de phase 3 au début de l'année 2026 pour le *rugonersen* en tant que traitement potentiel pour les personnes atteintes du syndrome d'Angelman.

À propos d'Oak Hill Bio

Oak Hill Bio Ltd est une société de biotechnologie en phase clinique qui se concentre sur l'acquisition et le développement de traitements qui changent la vie pour les personnes avec des maladies rares. Le pipeline de la société comprend trois programmes en phase avancée de développement clinique : des traitements potentiels pour le syndrome d'Angelman et les complications dû à une naissance extrêmement prématurée, ainsi qu'un programme préclinique pour l'œdème maculaire diabétique. Oak Hill est présente aux États-Unis et au Royaume-Uni. Pour plus d'informations, visitez le site web de la société à l'adresse :

<http://www.oakhillbio.com/>

Contacts:

Oak Hill Bio

Josh Distler, PDG josh.distler@oakhillbio.com

Media

media@oakhillbio.com

Traduction : DeepL.com (version gratuite) et AFSA