

Ionis annonce la conception d'un essai pivot de phase 3 pour ION582 dans le syndrome d'Angelman

6 novembre 2024

- Fin positive de la discussion sur la Phase 2 de l'essai clinique avec la FDA, incluant l'accord sur le design de phase 3
- La communication expressive sur la base de l'échelle de Bayley-4 est sélectionnée comme critère d'évaluation principal de l'étude de phase 3
- Initiation de l'étude de phase 3 de ION582 prévue pour le premier semestre 2025
- Ionis partagera la mise à jour du programme ION582 lors du FAST Global Science Summit en novembre

CARLSBAD, Californie, 6 novembre 2024 /PRNewswire/ -- Ionis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq : IONS) a annoncé aujourd'hui la conception de l'étude pivot de phase 3 suite à l'alignement réussi avec la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis sur ION582, un médicament expérimental pour le traitement des personnes atteintes du syndrome d'Angelman (SA). Le SA est généralement diagnostiqué dans la petite enfance et se caractérise par une déficience intellectuelle sévère, une altération des capacités communicationnelles et une déficience motrice importante.

« Suite aux résultats positifs de ION582 dans l'essai de phase 2 HALOS, nous sommes heureux d'avoir trouvé un accord avec la FDA sur la conception de notre essai de phase 3 REVEAL, qui portera sur des critères d'évaluation clinique reflétant les attentes les plus urgentes et les plus significatives pour les personnes vivant avec le SA et leurs aidants », a déclaré Brett Monia, Ph.D., directeur général d'Ionis. « Nous allons recruter un large groupe de personnes vivant avec le SA dans l'essai pivot mondial de phase 3, dont le début est prévu pour le premier semestre 2025. Nous sommes impatients de travailler avec la communauté pour faire progresser un nouveau traitement potentiel ciblant la cause sous-jacente de la maladie dans ce syndrome neurologique sévère qui n'a pas de médicaments approuvés. »

L'étude mondiale de phase 3, randomisée et contrôlée par placebo, recrutera environ 200 enfants et adultes atteints du SA et présentant une délétion ou une mutation du gène UBE3A d'origine maternelle. L'analyse primaire aura lieu après environ un an de traitement, puis tous les patients passeront à une phase ouverte d'extension à long terme de l'étude.

Les patients seront randomisés 2:1 entre le traitement actif et le placebo, et ION582 sera évalué à deux niveaux de dose qui seront administrés trimestriellement sans régime de charge. Le critère d'évaluation principal sera l'amélioration de la communication expressive telle qu'évaluée par l'échelle Bayley Scales for Infant and Toddler Development-4 (Bayley-4), une évaluation objective et directe du fonctionnement clinique administrée par un clinicien. Les déficits de communication expressive sont signalés comme étant les symptômes qui posent le plus de problèmes aux aidants des personnes atteintes du SA. L'étude évaluera plusieurs paramètres secondaires, notamment la gravité globale de la maladie, la cognition, la communication, le sommeil, le fonctionnement moteur et les aptitudes à la vie quotidienne, ainsi que d'autres paramètres exploratoires.

La réunion de fin de phase 2 a été soutenue par les données de l'étude ouverte de phase 2 HALOS. Dans la partie de l'étude à doses multiples ascendantes (MAD) récemment achevée, le traitement par ION582 a fourni des preuves solides d'une amélioration cliniquement significative dans tous les domaines fonctionnels, y compris la communication, la cognition et la fonction motrice. Dans l'ensemble, 97 % des personnes des groupes à dose moyenne et élevée évalués dans le cadre de

l'étude ont constaté une amélioration des symptômes globaux du SA, telle que mesurée par l'échelle SAS-CGI-C (Angelman Syndrome Clinical Global Improvement Change), qui évalue les impressions des cliniciens. ION582 a montré une sécurité et une tolérabilité favorables à tous les niveaux de dose de l'étude.

Lors du FAST Global Science Summit le week-end des 8-9 novembre), Ionis fournira une mise à jour à la communauté sur l'étude phase 3 et examinera les données de la partie MAD de l'étude HALOS.

À propos de ION582

ION582 est un médicament antisens expérimental conçu pour inhiber l'expression du transcrit antisens de l'UBE3A (UBE3A-ATS) et augmenter la production de la protéine UBE3A, pour le traitement potentiel du syndrome d'Angelman (SA). En 2022, la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé à ION582 la désignation de médicament orphelin et la désignation de médicament pédiatrique rare.

À propos du syndrome d'Angelman (SA)

Le SA est une maladie neurologique génétique rare causée par la perte de fonction du gène UBE3A hérité de la mère. Le SA est généralement diagnostiqué dans la petite enfance et se caractérise par une déficience intellectuelle profonde, des troubles de l'équilibre, une déficience motrice et des crises d'épilepsie invalidantes. La plupart des patients n'ont pas accès à la parole. Les personnes atteintes du SA ont une espérance de vie normale mais ont besoin d'une prise en charge pluridisciplinaire. Certains symptômes peuvent être améliorés par des médicaments existants ; cependant, il n'existe pas de thérapies approuvées pour prendre en charge la maladie.

À propos de la franchise Neurologie de Ionis

Ionis est à l'avant-garde de la découverte et du développement de médicaments de pointe pour les maladies neurologiques, notamment SPINRAZA® (nusinersen), le premier traitement approuvé pour l'amyotrophie spinale, WAINUA™ (eplontersen), un médicament pour traiter la polyneuropathie amyloïde héréditaire transthyrétine (ATTRv-PN), et QALSODY® (tofersen) pour la SOD1-ALS. Le portefeuille au stade clinique comprend 11 thérapies, dont cinq sont détenues à 100 % par Ionis. Le portefeuille expérimental de Ionis comprend des médicaments pour lesquels il existe peu ou pas de traitements modificateurs de la maladie, tels que des maladies rares comme la maladie de Prion et la maladie d'Alexander, et des maladies plus courantes comme la maladie d'Alzheimer et la maladie de Parkinson.

À propos de Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Depuis trois décennies, Ionis découvre des médicaments qui améliorent l'avenir des personnes atteintes de maladies graves. Ionis dispose actuellement de cinq médicaments commercialisés et d'un pipeline de premier plan en neurologie, en cardiologie et dans d'autres domaines où les besoins des patients sont importants. En tant que pionnier des médicaments ciblant l'ARN, Ionis continue de stimuler l'innovation dans les thérapies à base d'ARN tout en faisant progresser les nouvelles approches en matière de thérapies géniques. Une compréhension approfondie de la biologie des maladies et une technologie de pointe propulsent notre travail, associé à la passion et à l'urgence de réaliser des avancées qui changeront la vie des patients.

Pour en savoir plus sur Ionis, visitez [Ionis.com](https://www.ionis.com) et suivez-nous sur X (Twitter), LinkedIn et Instagram.

Déclarations prospectives de Ionis

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives concernant les activités de Ionis et le potentiel thérapeutique et commercial des médicaments commerciaux de Ionis, de ION582 et des autres médicaments en développement et technologies de Ionis. des médicaments commerciaux de Ionis, de ION582 et des autres médicaments en développement et technologies de Ionis. Toute déclaration décrivant les objectifs, les attentes, les projections financières ou autres, les intentions ou les convictions de Ionis est une déclaration prospective et doit être considérée comme une déclaration à risque. Ces déclarations sont soumises à certains risques et incertitudes, y compris, mais sans s'y limiter, ceux liés à nos produits commerciaux et aux médicaments en cours de développement, et en particulier ceux inhérents au processus de découverte, de développement et de commercialisation de médicaments sûrs et efficaces pour une utilisation thérapeutique chez l'homme, ainsi qu'à l'effort de création d'une entreprise autour de ces médicaments.

Les déclarations prospectives de Ionis impliquent également des hypothèses qui, si elles ne se concrétisent pas ou ne se révèlent pas correctes, pourraient entraîner des résultats sensiblement différents de ceux exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. Bien que les déclarations prospectives de Ionis reflètent le jugement de bonne foi de sa direction, ces déclarations ne sont basées que sur des faits et des facteurs actuellement connus par Ionis. Sauf si la loi l'exige, nous ne nous engageons pas à mettre à jour les déclarations prospectives pour quelque raison que ce soit. Par conséquent, nous vous conseillons de ne pas vous fier à ces déclarations prospectives. Ces risques et d'autres concernant les programmes de Ionis sont décrits plus en détail dans le rapport annuel de Ionis sur le formulaire 10-K pour l'année se terminant le 31 décembre 2023, et le formulaire 10-Q le plus récent, qui sont déposés auprès de la SEC. Des copies de ces documents et d'autres documents sont disponibles à l'adresse www.ionis.com.

Dans ce communiqué de presse, à moins que le contexte ne s'y oppose, les termes « Ionis », « Société », « nous », « notre » et « nos » se réfèrent tous à Ionis Pharmaceuticals et à ses filiales.

Ionis Pharmaceuticals® est une marque déposée de Ionis Pharmaceuticals, Inc.

ION582 est un médicament expérimental qui n'a pas été approuvé pour le traitement d'une quelconque maladie par les autorités réglementaires.

Ionis Pharmaceuticals Contact pour les investisseurs : D. Wade Walke, Ph D. - IR@ionis.com - 760-603-2331

Ionis Pharmaceuticals Media Contact : Hayley Soffer - Media@ionis.com - 760-603-4679

Voir le contenu original pour télécharger le multimédia:<https://www.prnewswire.com/news-releases/ionis-announces-pivotal-phase-3-trial-design-for-ion582-in-angelman-syndrome-302297166.html>

SOURCE Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Traduction réalisée par l'AFSA - DEEPL