

27 mars 2026

Information importante concernant l'alogabat, un traitement expérimental à l'étude pour le syndrome d'Angelman

Chère communauté du syndrome d'Angelman,

Dans le cadre de notre engagement à communiquer de manière transparente sur le programme concernant le syndrome d'Angelman (SA) avec l'alogabat, et conformément à votre souhait de recevoir des informations pertinentes en temps opportun, nous souhaitons aujourd'hui vous informer des résultats de l'étude de phase 2 ALDEBARAN.

Nous souhaitons tout d'abord vous adresser nos plus sincères remerciements. Votre engagement et votre mobilisation pour faire avancer la recherche sur le syndrome d'Angelman, ainsi que votre participation à l'étude ALDEBARAN, ont été inestimables. Nous sommes profondément reconnaissants pour la collaboration des familles, des associations de patients, des investigateurs, des équipes des centres de recherche clinique et de l'ensemble de la communauté du SA. Votre résilience et votre engagement collectif ont été au cœur de cette démarche.

L'étude ALDEBARAN visait à évaluer la sécurité de l'alogabat chez 48 participants atteints d'un syndrome d'Angelman avec délétion, âgés de 5 à 17 ans. L'alogabat est conçu pour cibler les récepteurs GABAA $\alpha 5$, impliqués dans certains mécanismes génétiques affectés dans les formes avec délétion du SA.

Les résultats de l'étude ALDEBARAN montrent l'innocuité et la tolérabilité de l'alogabat chez les participants. Cependant, aucune modification de l'activité cérébrale n'a été observée, telle que mesurée par électroencéphalogramme (EEG), ce qui suggère une absence d'effet sur la composante GABA de la maladie.

Au regard de ces résultats, Roche a décidé d'arrêter le développement de l'alogabat dans le syndrome d'Angelman. Les données de cette étude seront présentées lors d'un prochain congrès scientifique afin de contribuer à l'orientation de futurs développements thérapeutiques.

Nous comprenons que cette annonce puisse être décevante. Les familles dont l'enfant a participé à l'étude ALDEBARAN ont normalement déjà été informées par leur médecin investigateur.

Nous remercions à nouveau chaleureusement les participants et leurs familles pour leur soutien indéfectible à la recherche. Chaque essai contribue à une meilleure compréhension du syndrome d'Angelman, et la recherche ne peut progresser sans votre engagement à nos côtés.

Bien sincèrement,

Shady Sedhom

Responsable mondial du partenariat avec les patients

Julie M Burns

Directrice des relations avec les associations de patients