

16 maja 2024 r

Szanowna Społeczności zespołu Angelmana,

Piszemy, aby podzielić się aktualnymi informacjami na temat programu firmy Ionis dotyczącego zespołu Angelmana, ION582. W dniu 16 maja 2024 r, ogłosiliśmy pozytywne wstępne wyniki fazy 1/2a badania klinicznego HALOS nad ION582 u osób z zespołem Angelmana. Ogłoszenie można znaleźć [tutaj](#). Spodziewamy się przedstawić szczegółowe wyniki badania na lipcowym spotkaniu Angelman Syndrome Foundation (ASF).

Ionis ma również przyjemność poinformować, że będziemy niezależnie rozwijać ION582. Ionis ma udokumentowane osiągnięcia w dziedzinie neurologii i wiodącą linię badanych leków na poważne choroby neurologiczne. Biogen zdecydował się nie korzystać z prawa do licencjonowania ION582.

HALOS to otwarte badanie kliniczne fazy 1/2a mające na celu ocenę bezpieczeństwa i tolerancji ION582 u osób z zespołem Angelmana. Wyniki tej wczesnej fazy badania, choć zachęcające, muszą zostać potwierdzone w większym, dobrze kontrolowanym badaniu klinicznym. W tym celu Ionis planuje dokonać przeglądu wyników badania ION582 Fazy 1/2a z organami regulacyjnymi, aby poinformować o kolejnych etapach rozwoju, w tym o projekcie potencjalnego badania klinicznego fazy 3.

Dla przypomnienia, część 1 badania HALOS była trzymiesięcznym badaniem z wielokrotnym zwiększaniem dawki (MAD) u 51 pacjentów w wieku 2-50 lat, w którym oceniano trzy dawki ION582. Wszyscy kwalifikujący się pacjenci przeszli do części 2 długoterminowego przedłużenia badania (LTE), które jest w toku. Część 2 LTE ocenia dwie wyższe dawki ION582 przez dodatkowe 12 miesięcy. Część 3 badania będzie oceniać kwalifikujących się pacjentów przez dodatkowe trzy lata.

Jesteśmy wdzięczni uczestnikom badania klinicznego HALOS i ich rodzinom. Zdajemy sobie sprawę z osobistego poświęcenia osób i rodzin biorących udział w badaniach klinicznych. Ich udział, wraz ze wsparciem całej społeczności związanej z zespołem Angelmana, ma kluczowe znaczenie dla postępu naukowego i medycznego wymaganego do osiągnięcia postępu w kierunku leczenia osób żyjących z zespołem Angelmana.

Z niecierpliwością czekamy na współpracę ze społecznością w celu przejścia ION582 do następnego etapu rozwoju.

Z poważaniem,

W przypadku dodatkowych pytań prosimy o kontakt: pacjenci@ionisph.com

Kluczowe pytania i odpowiedzi

1. Jaki jest obecny status programu rozwoju ION582 i badania HALOS?

HALOS to otwarte, trzyczęściowe badanie kliniczne mające na celu ocenę bezpieczeństwa i tolerancji ION582 u osób z zespołem Angelmana. Część 1 badania, trzymiesięczne badanie z wielokrotnym podawaniem wzrastającej dawki zostało zakończone, a wszyscy kwalifikujący się uczestnicy przeszli do Części 2 długoterminowego rozszerzenia badania (LTE), która jest w toku. Część 2 LTE będzie oceniać ION582 przez dodatkowe 12 miesięcy. Gdy kwalifikujący się uczestnicy ukończą zarówno Część 1, jak i Część 2, mogą następnie przejść do Części 3 LTE, aby kontynuować otrzymywanie ION582 przez dodatkowe trzy lata. Wstępne wyniki badania HALOS zostały przedstawione na spotkaniu Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics (FAST) w listopadzie 2023 r.

2. Jakie są kolejne kroki w programie rozwoju ION582?

Ionis planuje dokonać przeglądu wyników fazy 1/2a badania ION582 z organami regulacyjnymi, aby określić kolejne etapy rozwoju, w tym zaprojektowanie potencjalnego badania klinicznego fazy 3. Rozumiemy pilną potrzebę postępu medycznego w zespole Angelmana i będziemy nadal przekazywać społeczności aktualne informacje w stosownym czasie.

3. Co to jest ION582?

ION582 to badany oligonukleotyd antysensowny (ASO) zaprojektowany w celu zwiększenia produkcji białka UBE3A w mózgu.

4. Czy ION582 może być dostępny poza badaniem klinicznym HALOS, np. w ramach programu rozszerzonego dostępu?

Ocena bezpieczeństwa i skuteczności ION582 w badaniach klinicznych jest niezbędna do ustalenia czy ION582 może pomóc osobom z zespołem Angelmana. Z tego powodu lek ION582 nie jest dostępny poza tym badaniem klinicznym, w tym w ramach rozszerzonego dostępu. Więcej informacji na temat programu rozszerzonego dostępu Ionis, kliknij [tutaj](#).

5. Dlaczego firma Biogen zdecydowała się nie korzystać z opcji rozwoju ION582?

Oddajemy głos firmie Biogen, ale podjęła ona decyzję, którą uznała za najlepszą, biorąc pod uwagę wewnętrzne uwarunkowania firmy.