

## Ionis ogłasza pozytywne wyniki fazy 1/2a badania nad ION582 na zespół Angelmana

16 maja 2024 r.

- ION582 wykazał spójną poprawę w wielu domenach funkcjonalnych u pacjentów z zespołem Angelmana.
- ION582 był bezpieczny i dobrze tolerowany na wszystkich poziomach dawkowania
- Ionis planuje przenieść ION582 do badania kluczowego
- Szczegółowe dane dotyczące ION582 zostaną zaprezentowane na nadchodzącym spotkaniu medycznym

CARLSBAD, Kalifornia, 16 maja 2024 r. /PRNewswire/ -- Firma Ionis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: IONS) ogłosiła dziś pozytywne dane wstępne z badania HALOS fazy 1/2a otwartego badania nad ION582 w zespole Angelmana. ION582 był bezpieczny i dobrze tolerowany w badaniu i wykazał zachęcające i spójne korzyści u osób żyjących z zespołem Angelmana, przy czym najsilniejszą poprawę zaobserwowano w kluczowych obszarach funkcjonowania w tym funkcji poznawczych, komunikacyjnych i funkcjach motorycznych.

Ionis ogłosił również, że będzie niezależnie rozwijać ION582 jako część wiodącego portfolio potencjalnie transformacyjnych leków na poważne choroby neurologiczne. Ionis planuje dokonać przeglądu wyników fazy 1/2a badania nad ION582 z organami regulacyjnymi w celu zaprojektowania kluczowego programu. Biogen zdecydował się nie korzystać z opcji licencjonowania ION582.

"Obecnie nie ma zatwierdzonych metod leczenia zespołu Angelmana, który powoduje opóźnienie rozwojowe, zaburzenia poznawcze i poważne wyzwania komunikacyjne przy czym większość osób nie jest w stanie mówić ani żyć niezależnie" - powiedziała profesor pediatrii Lynne Bird na UC San Diego i badacz badania HALOS. "Jesteśmy zachęcani pozytywną i konsekwentną poprawą zaobserwowaną w badaniu HALOS w wielu obszarach, i ta poprawa funkcjonowania może mieć transformujący wpływ na życie osób żyjących z zespołem Angelmana i ich opiekunów. Zachęca nas również korzystny profil bezpieczeństwa i tolerancji zaobserwowany w badaniu, co jest szczególnie ważne w przypadku leczenia dzieci. Z niecierpliwością czekamy na dalszą ocenę ION582 w kluczowym programie".

Zespół Angelmana jest spowodowany utratą funkcji matczynego genu *UBE3A*. ION582 ma na celu odciszenie ojcowskiego allelu *UBE3A* w celu zwiększenia produkcji białka UBE3A w mózgu. Szacuje się, że zespół Angelmana dotyka jedną na 12 000 do 20 000 osób na całym świecie.<sup>1</sup> Objawia się głębokimi i poważnymi opóźnieniami rozwojowymi w funkcjonowaniu motorycznym, językowym i poznawczym, drgawkami i ataksją. Jest to poważne zaburzenie neurorozwojowe, które pojawia się we wczesnym dzieciństwie, powodując całkowitą zależność od opiekuna.

"Jesteśmy zachęcani danymi z badania HALOS i cieszymy się, że możemy dodać ten obiecujący lek do naszej rosnącej niezależnej linii rozwoju leków neurologicznych" - powiedział dr Brett Monia, dyrektor wykonawczy Ionis. "Z niecierpliwością czekamy na udostępnienie szczegółowych danych na zbliżającym się spotkaniu Angelman Syndrome Foundation i wprowadzenie ION582 do kluczowego badania. Osoby z zespołem Angelmana borykają się z poważnymi wyzwaniami neurorozwojowymi i nie mają obecnie zatwierdzonych terapii. Jesteśmy zobowiązani do ścisłej współpracy ze społecznością, badaczami i organami regulacyjnymi, aby rozwijać ten obiecujący lek".

Część 1 badania HALOS była trzymiesięcznym badaniem z zastosowaniem dawki wielokrotnej (MAD) u 51 pacjentów w wieku od 2 do 50 lat, w którym oceniano trzy dawki ION582. Wszyscy kwalifikujący się pacjenci przeszli do części 2 długoterminowego przedłużenia badania (LTE), w którym oceniano dwie wyższe dawki ION582 przez dodatkowe 12 miesięcy. Część 3 badania będzie oceniać kwalifikujących się pacjentów przez dodatkowe trzy lata. Najważniejsze wyniki były dostępne dla wszystkich pacjentów po czterech miesiącach (miesiąc po ostatniej dawce MAD) i sześciu miesiącach, i były zgodne ze wstępnymi wynikami ogłoszonymi na spotkaniu Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics (FAST) w listopadzie 2023 roku. Najważniejsze dane obejmowały:

- Ocena bezpieczeństwa była głównym celem badania, a ION582 był bezpieczny i dobrze tolerowany na wszystkich poziomach dawkowania. Zdarzenia niepożądane w badaniu były zgodne z historią medyczną pacjentów, diagnozą zespołu Angelmana lub związane z podaniem dokanatowym.
- ION582 wykazał spójne efekty w wielu obiektywnych i subiektywnych pomiarach stosowanych do oceny funkcjonowania u osób z zespołem Angelmana. Obejmują one Bayley-4, obiektywną ocenę funkcjonowania klinicznego dokonywaną przez lekarza, skalę SAS-CGI-C (ang. Angelman Syndrome Clinical Global Improvement Change), która ocenia wrażenia klinicystów, oraz skalę Vineland-3 i skalę Observer-Reported Communication Ability (ORCA), które są narzędziami oceny zgłaszanymi przez rodziców. Te pozytywne wyniki korelowały z pozytywnymi zmianami w aktywności EEG, w tym ze zmniejszeniem aktywności wolnej fali delta.
- Po sześciu miesiącach około 65% pacjentów osiągnęło poprawę funkcji poznawczych w teście Bayley-4. Chociaż nie należy dokonywać bezpośrednich porównań, poprawa ta przewyższała poprawę obserwowaną w badaniach historii naturalnej w tym samym okresie czasu.
- Po sześciu miesiącach około 70% pacjentów wykazało poprawę w zakresie komunikacji receptywnej i/lub ekspresywnej w skali Bayley-4. Chociaż nie należy dokonywać bezpośrednich porównań, zmiany te przewyższały poprawę obserwowaną w badaniach historii naturalnej w tym samym okresie czasu.

- Po sześciu miesiącach około 65% pacjentów wykazało poprawę w pomiarach umiejętności motorycznych Bayley-4 w zakresie motoryki małej i dużej. Chociaż nie należy dokonywać bezpośrednich porównań, zmiany te przewyższyły poprawę obserwowaną w badaniach historii naturalnej w tym samym okresie czasu.

Ionis spodziewa się przedstawić szczegółowe wyniki badania HALOS na spotkaniu Angelman Syndrome Foundation w lipcu. ION582 otrzymał oznaczenie leku sierociego w USA. Faza 1/2a otwartego badania HALOS ocenia bezpieczeństwo, tolerancję, farmakokinetykę i farmakodynamikę, a także pewne wskaźniki wyników klinicznych. ION582 jest podawany dokanałowo do płynu mózgowo-rdzeniowego poprzez naktucie lędźwiowe. Więcej informacji na temat badania HALOS (NCT05127226) można znaleźć na stronie [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).

### Informacje o franczyzie neurologicznej firmy Ionis

Neurologiczna franczyza Ionis obejmuje wszystkie główne regiony mózgu i typy komórek ośrodkowego układu nerwowego, a obecnie trwają trzy badania 3 fazy z 11 terapiami w fazie rozwoju klinicznego, z których kilka Ionis planuje bezpośrednio skomercjalizować. Ionis odkrywa i opracowuje potencjalne terapie dla wielu chorób neurologicznych, dla których istnieje niewiele lub nie istnieją żadne terapie modyfikujące przebieg choroby, w tym powszechne choroby, takie jak Alzheimer i choroba Parkinsona, a także rzadkie choroby, takie jak stwardnienie zanikowe boczne (ALS) i choroba Alexandra. Firma Ionis odkryła i opracowała trzy dostępne na rynku leki na choroby neurologiczne, w tym SPINRAZA® (nusinersen), pierwszy zatwierdzony lek na rdzeniowy zanik mięśni, WAINUATM (eplontersen), lek stosowany w leczeniu dziedzicznej polineuropatii amyloidowej z udziałem transtyretyny (ATTRv-PN) oraz QALSODY® (tofersen) dla SOD1-ALS.

### O firmie Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Od trzech dekad firma Ionis opracowuje leki, które zapewniają lepszą przyszłość osobom cierpiącym na poważne choroby. Ionis ma obecnie pięć leków wprowadzonych na rynek i wiodący program rozwoju w neurologii, kardiologii i innych obszarach o wysokim zapotrzebowaniu pacjentów. Jako pionier w dziedzinie leków ukierunkowanych na RNA, firma Ionis nadal napędza innowacje w terapiach RNA, a także rozwija nowe podejścia do edycji genów. Głębokie zrozumienie biologii chorób i wiodącej w branży technologii napędza naszą pracę, w połączeniu z pasją i pilną potrzebą zapewnienia pacjentom postępów zmieniających życie.

Aby dowiedzieć się więcej o Ionis, odwiedź [ionispharma.com](https://ionispharma.com) i śledź nas na X (Twitter) i LinkedIn.

### Oświadczenie Ionis dotyczące przyszłości

Niniejszy komunikat prasowy zawiera stwierdzenia dotyczące przyszłości w odniesieniu do działalności Ionis, prognoz finansowych oraz potencjału terapeutycznego i komercyjnego naszych komercyjnych leków, ION582, dodatkowych leków w fazie rozwoju i technologii. Wszelkie stwierdzenia opisujące cele, oczekiwania finansowe lub inne prognozy, zamiary lub przekonania są stwierdzeniami wybiegającymi w przyszłość i należy je traktować jako stwierdzenia obarczone ryzykiem. Takie stwierdzenia podlegają pewnemu ryzyku i niepewności, w tym ryzyku i niepewności związanym z procesem odkrywania, opracowywania i komercjalizacji leków, które są bezpieczne i skuteczne do stosowania jako terapie dla ludzi, a także w dążeniu do budowania biznesu wokół takich leków. Stwierdzenia Ionis dotyczące przyszłości obejmują również założenia, które, jeśli nigdy się nie zmaterializują lub nie okażą się prawidłowe, mogą spowodować, że wyniki będą się znacznie różnić od tych wyrażonych lub sugerowanych w takich stwierdzeniach dotyczących przyszłości. Chociaż stwierdzenia Ionis dotyczące przyszłości odzwierciedlają osąd kierownictwa w dobrej wierze, stwierdzenia te opierają się wyłącznie na faktach i czynnikach obecnie znanych firmie Ionis. Z wyjątkiem przypadków wymaganych przez prawo, nie zobowiązujemy się do aktualizowania jakichkolwiek stwierdzeń dotyczących przyszłości z jakiegokolwiek powodu. W związku z tym przestrzegamy przed poleganiem na tych stwierdzeniach dotyczących przyszłości. Te i inne zagrożenia dotyczące programów Ionis zostały opisane bardziej szczegółowo w raporcie rocznym Ionis na formularzu 10-K za rok zakończony 31 grudnia 2023 r. oraz w najnowszym formularzu 10-Q, które znajdują się w aktach Komisji Papierów Wartościowych i Giełd. Kopie tych i innych dokumentów są dostępne w Spółce.

W niniejszym komunikacie prasowym, o ile kontekst nie wymaga inaczej, "Ionis", "Spółka", "my", "nasz" i "nas" odnoszą się do Ionis Pharmaceuticals i jej spółek zależnych.

Ionis Pharmaceuticals® jest zastrzeżonym znakiem towarowym Ionis Pharmaceuticals, Inc. QALSODY® jest zastrzeżonym znakiem towarowym firmy Biogen. WAINUA™ jest zastrzeżonym znakiem towarowym grupy firm AstraZeneca.

**Ionis Pharmaceuticals Kontakt dla inwestorów:** D. Wade Walke, Ph.D. - [info@ionisph.com](mailto:info@ionisph.com) - 760-603-2331

**Ionis Pharmaceuticals Kontakt dla mediów:** Hayley Soffer - [CorporateCommunications@ionisph.com](mailto:CorporateCommunications@ionisph.com) - 760-603-4679

<sup>1</sup> Mertz LG, Christensen R, Vogel I, Hertz JM, Nielsen KB, Gronskov K, Ostergaard JR. Angelman syndrome in Denmark. birth incidence, genetic findings, and age at diagnosis. *Am J Med Genet A.* 2013;161A:2197–203.

Wyświetl oryginalną zawartość, aby pobrać multimedia: <https://www.prnewswire.com/news-releases/ionis-announces-positive-topline-results-from-phase12a-trial-of-ion582-for-angelman-syndrome-302147385.html>

SOURCE Ionis Pharmaceuticals, Inc.



zastrzeżenie: tłumaczenie własne FAST Poland  
disclaimer: self translated by FAST Poland