

Otrzymanie pierwszej dawki ION582 przez pacjenta w kluczowym badaniu klinicznym fazy 3 REVEAL dla osób z zespołem Angelmana

11 czerwca 2025

- Ukończenie rekrutacji przewidywane na 2026r. -

CARLSBAD, Kalifornia. -- /BUSINESS WIRE/ -- 11 czerwca 2025r. -- [Ionis Pharmaceuticals, Inc.](#) (Nasdaq: IONS) ogłosił dziś, że podano dawkę pierwszemu uczestnikowi w globalnym badaniu fazy 3 REVEAL, którego celem jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa ION582 – eksperymentalnej terapii do stosowania u osób z zespołem Angelmana (ZA), poważnym i rzadkim zaburzeniem neurorozwojowym, które prowadzi do znacznych deficytów fizycznych i poznawczych.

"Podanie pierwszej dawki osobie z zespołem Angelmana w naszym kluczowym badaniu REVEAL to ważny kamień milowy dla tej niedostatecznie wspieranej społeczności, która obecnie nie ma dostępu do zatwierdzonych terapii modyfikujących przebieg choroby," powiedziała dr Holly Kordasiewicz, starsza wiceprezes ds. neurologii w Ionis. "To kontrolowane placebo badanie oceni ION582 u dzieci i dorosłych z delecją lub mutacją genu UBE3A i opiera się na wcześniejszych, obiecujących wynikach z badania fazy 1/2 HALOS. To osiągnięcie odzwierciedla nasze zaangażowanie na rzecz osób dotkniętych zespołem Angelmana i rozwija nasz zakres innowacji w neurologii, obejmujący leki SPINRAZA i QALSODY. Dzięki ION582 kontynuujemy rozwój naszej wiodącej, w pełni własnej linii leków neurologicznych, obejmującej osiem terapii w fazie klinicznej – zarówno na choroby rzadkie, jak i bardziej powszechne."

REVEAL (NCT06914609) to globalne, randomizowane, podwójnie zaślepiene, kontrolowane placebo badanie fazy 3, które obejmie około 200 dzieci i dorosłych z ZA wynikającym z delecji lub mutacji genu UBE3A pochodzenia matczynego. Podczas 52-tygodniowego okresu trwania terapii uczestnicy zostaną losowo przydzieleni w stosunku 2:1 do otrzymywania ION582 lub placebo. Osoby w grupie aktywnej będą otrzymywać kwartalnie dawki 40 mg lub 80 mg ION582. Po okresie podawania terapii, kwalifikujący się uczestnicy przejdą do długoterminowej fazy przedłużenia, w której wszyscy będą otrzymywać ION582 przez okres do 2 lat. Głównym punktem końcowym jest poprawa komunikacji ekspresyjnej oceniana za pomocą skali Bayley Scales for Infant and Toddler Development-4 (Bayley-4), obiektywnej i bezpośrednio przeprowadzanej przez klinicystę oceny funkcjonowania. Deficyty w komunikacji ekspresyjnej są uważane za najbardziej uciążliwe objawy dla opiekunów osób z ZA. Wśród drugorzędowych punktów końcowych znajdują się ogólna ciężkość choroby, funkcje poznawcze, komunikacja, sen, funkcje motoryczne i umiejętności życia codziennego, a także inne punkty eksploracyjne.

W zakończonej części MAD (Multiple Ascending Dose) fazy 1/2 badania HALOS, ION582 wykazał spójną i obiecującą poprawę kliniczną we wszystkich obszarach funkcjonalnych, w tym komunikacji, funkcji poznawczych i motorycznych, oraz wykazał korzystny profil bezpieczeństwa i tolerancji na wszystkich poziomach dawkowania.

Więcej informacji o badaniu klinicznym REVEAL można znaleźć na stronie: www.ionisrevealstudy.com oraz www.clinicaltrials.gov.

O leku ION582

ION582 to eksperymentalny lek antysensowny ukierunkowany na RNA, zaprojektowany w celu zahamowania ekspresji transkryptu antysensownego UBE3A (UBE3A-ATS) i zwiększenia produkcji białka UBE3A, z potencjalnym zastosowaniem w leczeniu zespołu Angelmana (ZA). Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) oraz Europejska Agencja Leków (EMA) przyznały ION582 status leku sierocznego. Dodatkowo FDA nadała ION582 status Fast Track oraz Rare Pediatric designation.

O zespole Angelmana (ZA)

ZA to rzadka, genetyczna choroba neurologiczna, która dotyka około 1 na 21 000 osób na świecie i jest spowodowana utratą funkcji genu UBE3A dziedziczonego od matki. Objawy ZA zwykle pojawiają się we wczesnym dzieciństwie i obejmują głęboką niepełnosprawność intelektualną, problemy z równowagą, zaburzenia motoryczne oraz wyniszczające napady padaczkowe. Większość osób z ZA nie mówi. Chorzy mają normalną długość życia, ale wymagają całkowitej opieki. Niektóre objawy mogą być leczone istniejącymi lekami, jednak nie istnieją zatwierdzone terapie modyfikujące przebieg choroby.

O Ionis Neurology

Ionis jest przodownikiem w zakresie odkrywania i opracowywania leków na choroby neurologiczne, w tym leku SPINRAZA® (nusinersen) – pierwszego zatwierdzonego leczenia rdzeniowego zaniku mięśni, WAINUA™ (eplontersen) – leku na dziedziczną amyloidową neuropatię polineuropatyczną związaną z transtyretyną (ATTRv-PN) oraz QALSODY® (tofersen) na SOD1-ALS. Portfolio kliniczne obejmuje 13 terapii, z czego osiem należy w całości do Ionis. W skład portfolio Ionis wchodzi leki na choroby, dla których istnieje niewiele lub nie istnieją żadne terapie modyfikujące przebieg choroby, takie jak choroby rzadkie, w tym choroba prionowa i choroba Alexandra, a także bardziej powszechne jak choroba Alzheimera i Parkinsona.

O Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Od trzech dekad firma Ionis opracowuje leki, które zmieniają przyszłość osób z poważnymi chorobami. Obecnie Ionis ma sześć wprowadzonych na rynek leków i prowadzi zaawansowane prace badawcze w neurologii, kardiologii i innych obszarach o dużym zapotrzebowaniu medycznym. Jako pionier w dziedzinie leków ukierunkowanych na RNA, Ionis kontynuuje rozwój innowacyjnych terapii RNA, jak również nowych podejść, takich jak edycja genów. Głęboka wiedza o biologii chorób i wiodące

technologie są podstawą działań firmy, napędzanych przez niezłomność i pilność w dostarczaniu przełomowych rozwiązań pacjentom. Aby dowiedzieć się więcej, odwiedź stronę Ionis.com oraz obserwuj firmę na X (Twitterze), LinkedIn i Instagramie.

Oświadczenia Ionis dotyczące przyszłości

Niniejsza informacja prasowa zawiera oświadczenia dotyczące przyszłości działalności firmy Ionis oraz potencjału terapeutycznego i komercyjnego leku ION582, naszych leków komercyjnych i innych leków w fazie rozwoju i opracowywanych technologii. Każde oświadczenie dotyczące celów, oczekiwań, prognoz finansowych i innych, intencji czy przekonań powinno być traktowane jako oświadczenie obarczone ryzykiem. Takie oświadczenia podlegają określonym ryzykom i niepewnościom związanym m.in. z procesem odkrywania, opracowywania i komercjalizacji bezpiecznych i skutecznych do użycia przez ludzi terapii, a także dążeniach w rozwoju biznesowym związanym z tego typu lekami. Oświadczenia te opierają się na założeniach, że jeśli nie zostaną zrealizowane lub uznane za słuszne, mogą spowodować różniące się materialnie rezultaty od tych wyrażanych lub sugerowanych przez takie oświadczenia dotyczące przyszłości. Chociaż prognozy przyszłościowe firmy Ionis odzwierciedlają dobrą wiarę w ocenę jej zarządzania, oparte są one wyłącznie na faktach i czynnikach obecnie znanych firmie Ionis. Z wyjątkiem sytuacji wymaganych przez prawo, nie zobowiązujemy się do aktualizowania jakichkolwiek prognoz przyszłościowych z różnych powodów. W związku z tym zaleca się, aby nie polegać na tych prognozach. Ryzyka te oraz inne zagrożenia związane z programami firmy Ionis są szczegółowo opisane w rocznym raporcie firmy Ionis na formularzu 10-K za rok zakończony 31 grudnia 2024 r. oraz w najnowszym formularzu 10-Q, które są dostępne w dokumentacji Amerykańskiej Komisji Papierów Wartościowych i Giełd (SEC). Kopie tych oraz innych dokumentów są dostępne u firmy.

W niniejszym komunikacie prasowym, o ile kontekst nie stanowi inaczej, terminy „Ionis”, „firma”, „my”, „nasz” i „nas” odnoszą się do firmy Ionis Pharmaceuticals oraz jej spółek zależnych.

Ionis Pharmaceuticals® jest znakiem towarowym firmy Ionis Pharmaceuticals Inc. SPINRAZA® i QALSODY® są zarejestrowanymi znakami towarowymi firmy Biogen. WAINUA™ jest zarejestrowanym znakiem towarowym grupy spółek AstraZeneca.

Wersja źródłowa dostępna na: <https://www.businesswire.com/news/home/20250611150485/en/>

Kontakt Ionis Pharmaceuticals dla inwestorów:

D. Wade Walke, Ph.D.

IR@ionis.com

760-603-2331

Kontakt Ionis Pharmaceuticals dla mediów:

Hayley Soffer

media@ionis.com

760-603-4679

Źródło: Ionis Pharmaceuticals, Inc.