Chers membres de la communauté de la Dystrophie Myotonique

Traduction en français du communiqué MDF à propos de l'essai clinique IONIS DMPK-Rx

<http://us8.campaign-archive1.com/?u=8f5969cac3271759ce78c8354&id=1109538bcf&e=cd1f4d18fe>

Notre récente annonce concernant notre essai clinique

Au cours des quelques années passées, nous avons fait la connaissance de beaucoup de familles vivant avec la dystrophie myotonique et avons été profondément touchés par leurs expériences. Après l'annonce récente de données sur l'étude de sécurité IONIS-DMPKRx, nous comprenons qu'il y a beaucoup de déception dans la communauté et pensons qu'il est important d'y donner suite et de répondre à quelques-unes de vos préoccupations.

Quel était le but de l'essai?

L'étude IONIS-DMPKRx était conçue comme une étude de doses croissantes destinée à évaluer la sécurité du médicament, mais elle comportait également un certain nombre de paramètres exploratoires, tels que des évaluations de la force et la collecte de biopsies musculaires. IONIS-DMPKRx est conçu pour cibler l'ARN toxique DMPK dans le muscle qui est responsable de la myotonie ou de la dysfonction des muscles chez les patients atteints par la DM1. L'analyse des biopsies musculaires avait 2 objectifs : le premier était d'analyser les ARN pour évaluer les effets du médicament sur la cible DMPK et d'autres biomarqueurs impliqués dans la DM1, et le second était de mesurer les niveaux réels d'engagement du médicament dans les tissus visés, les muscles. Ces paramètres exploratoires ont fourni une opportunité d'évaluer si IONIS-DMPK-2.5_{Rx} réduisait les ARN DMPK toxiques dans les tissus musculaires.

Ce que nous avons appris

La bonne nouvelle, c'est que nous avons été capables d'observer quelques changements dans les biomarqueurs tels que l'épissage ARN et que nous avons pu détecter de faibles concentrations du médicament dans le tissu musculaire. Bien que d'importants enseignements aient été tirés de cette étude, à partir de notre expérience, nous estimons que ces changements n'étaient pas suffisants pour produire le niveau de bénéfice clinique que nous espérons atteindre. Ces données, combinées avec les avancées de notre technologie antisens qui nous ont permis d'améliorer encore la délivrance et le potentiel dans les tissus musculaires en utilisant la technologie LICA, ont conduit à prendre notre décision de ne pas continuer sur IONIS-DMPK-2.5_{Rx}

Amélioration de la chimie pour la prochaine étape de notre développement thérapeutique dans la DM

En complément de l'amélioration des fondements chimiques de nos médicaments, nous développons notre technologie LICA pour améliorer la délivrance de nos médicaments dans des tissus spécifiques. Cette technologie ajoute des structures chimiques spécifiques ou molécules appelées « conjuguées » dans les médicaments antisens pour améliorer l'efficacité d'assimilation du médicament et la délivrance dans un tissu spécifique. Nous avons démontré que notre technologie LICA peut en plus augmenter le potentiel de nos médicaments. Et bien que IONIS-DMPK-2.5_{Rx} s'arrête, l'important c'est que l'étude a permis de bien mieux comprendre comment de futures études et des critères cliniques améliorés peuvent être utilisés.

Engagement pour développer des thérapies pour la DM

IONIS et Biogen maintiennent leur engagement envers la communauté des malades de la DM et travaillent déjà pour avancer le développement d'un nouveau composé d'investigation pour cibler le gène DMPK en vue du traitement de la DM1. Nous nous consacrons à faire avancer une nouvelle chimie LICA ciblant le muscle de manière à augmenter son potentiel et espérons amener en développement un composé d'investigation. Notre intention est d'identifier un nouveau composé aussi vite que possible, et, bien qu'il soit trop tôt pour dire exactement quand le nouveau composé sera prêt pour un essai clinique, nous sommes optimistes et poursuivons cette activité en urgence

Merci

Pour terminer et c'est le plus important, nous savons que nous ne serions pas ici sans le support des familles participant à nos essais cliniques, les chercheurs en médecine et cliniciens qui soignent de manière exceptionnelle ces familles et l'entière communauté des patients qui nous incitent à donner notre meilleur jour après jour. Merci pour votre invariable support !

Sincèrement

IONIS et BIOGEN