

IONIS™

ברוכים הבאים

4 בנובמבר 2020



על סדר היום

- הצגת חברת איוניס
- תוכנית תסמונת אנגלמן של איוניס
- מחקר של איוניס על מהלך המחלה הטיפבי
- עדכון על המחקר הקליני
- שאלות ותשובות



על הקו אתנו היום



פרנק בנט, Ph.D.
סגן נשיא בכיר
מנהל מדעי ראשי



בקי קרין, Ph.D.
מנהלת מחקר קליני



יוג'ין שניידר, M.D.
סגן נשיא בכיר
ראש פיתוח קליני



קריסטינה בויאר
סגנית נשיא, פיתוח תרופות
ממוקד בחולה



תיאודורה וייס
מנהלת בכירה
ענייני ציבור ומעורבות חולים -
אירופה

IONISTM

תוכנית תסמונת אנגלמן

בקי קרין, Ph.D.
מנהלת מחקר קליני





- חברת ביוטכנולוגיה נוסדה: 1989
- מיקום: קרלסבד, קליפורניה
- גודל: כ-550 עובדים
- התמקדות: טיפולים מוכוונים-RNA
- חלוצה בפיתוח טכנולוגיית האנטי-סנס
- כולל מחלות נוירולוגיות
- שתי תרופות אנטיסנס מאושרות למחלות נוירולוגיות:



- תרופות רבות למגוון מחלות נוירולוגיות נמצאות בניסויים קליניים



A commitment
to **science**,
to **medicine**
and to **patients**

התחייבות
ל**מדע**,
ל**רפואה**
ול**חולים**



שיתוף פעולה ליצירת עתידים חדשים עבור חולי SMA ומשפחותיהם



- תרופה משנת-חיים שאושרה גלובלית לטיפול בכל סוגי נוון שרירי השדרה
- איוניס וביוג'ן עבדו ביחד כדי להביא את ספינראזה למשפחות SMA
- איוניס וביוג'ן מחויבים באותה מידה לפתח תרופה לחולי תסמונת אנגלמן

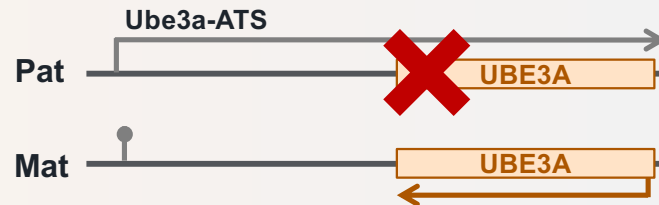


אנו מיישמים התקדמות חלוצית באנטיסנס לפיתוח תרופות למחלות נוירולוגיות



אוליגונוקליאוטידים אנטיסנסיים (ASO) גישה טיפולית חדישה לטיפול בתסמונת אנגלמן

אדם בריא



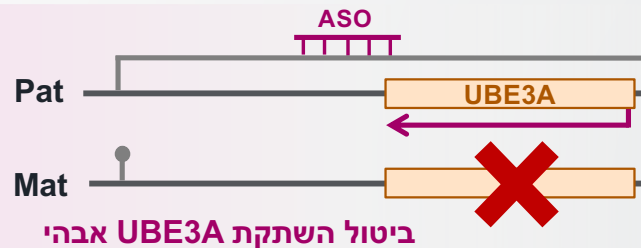
כמות נורמלית
של חלבון
UBE3A

חולה AS



אובדן חלבון
UBE3A

חולה AS מטופל



כמות נורמלית
של חלבון
UBE3A

המחויבות שלנו לתסמונת אנגלמן

- תוכנית אנגלמן שלנו יצאה לדרך בסביבות שנת 2012
- תוך מינוף 30 שנות ידע וניסיון עם ASO (חומצה ריבונוקלארית)
- סוננו מעל 3000 ASOs ◀ **בטיחות** ◀ **פעילות** ◀ **עצמה** ◀ **בטיחות** ◀ **רעלנות**
- זוהה מספר ASOs פוטנציאליים נגד שיתוק ה- UBE3A-ATS האבהי



היכן אנו נמצאים היום בתכנית AS UBE3A-ASO שלנו

נבדקו מספר מועמדים ונותחו נתונים ממספר מודלים פרה-קליניים של AS



זוהו מועמד מוביל לניסוי במרפאה בעל פרופיל תרופתי אופטימלי



בדיקות פרה-קליניות נוספות שמות את התרופה המועדפת על הדרך המובילה להחל ניסוי במחצית השנייה של 2021



אנו מתחילים בפעילויות סטארט-אפ חשובות (כמו בחירת מדינות ואתרים) לניסוי הקליני של תסמונת אנגלמן



על מנת לפתח תוכנית מוצלחת, אנו נערוך גם מחקר על מהלכה הטיפבי של המחלה בו יאספו דגימות נוזל שדרה מוחי (CSF) מאנשים עם תסמונת אנגלמן



המטרה שלנו היא ליצור את התרופה הטובה ביותר כדי לשרת אוכלוסיית חולים רחבה ככל האפשר

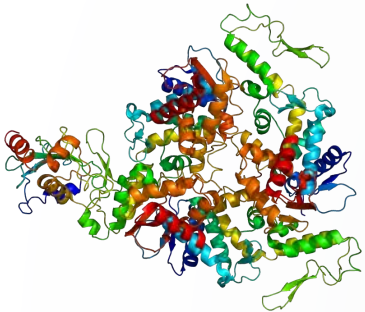


עדכון על המחקרים הקליניים שלנו

מחקר על מהלך המחלה הטיבעי
מחקר קליני UBE3A-ASO



מחקר על מהלכה הטיבעי של המחלה לאיסוף נוזל שידרה מוחי מדוע אנו זקוקים למחקר זה?



חלבון UBE3A

הוא סמן ביולוגי חשוב, אך מעולם לא נמדד בנוזל שדרה מוחי של אנשים עם תסמונת אנגלמן

- מדידת רמות UBE3A וסמנים ביולוגיים פוטנציאליים אחרים בנוזל שדרה מוחי יקנה לנו תובנה חשובה לגבי המחלה ומה שניתן למדוד במחקר קליני
- מידע זה יוכל לשמש בניסויים קליניים על מנת לאמת את השפעת התרופה



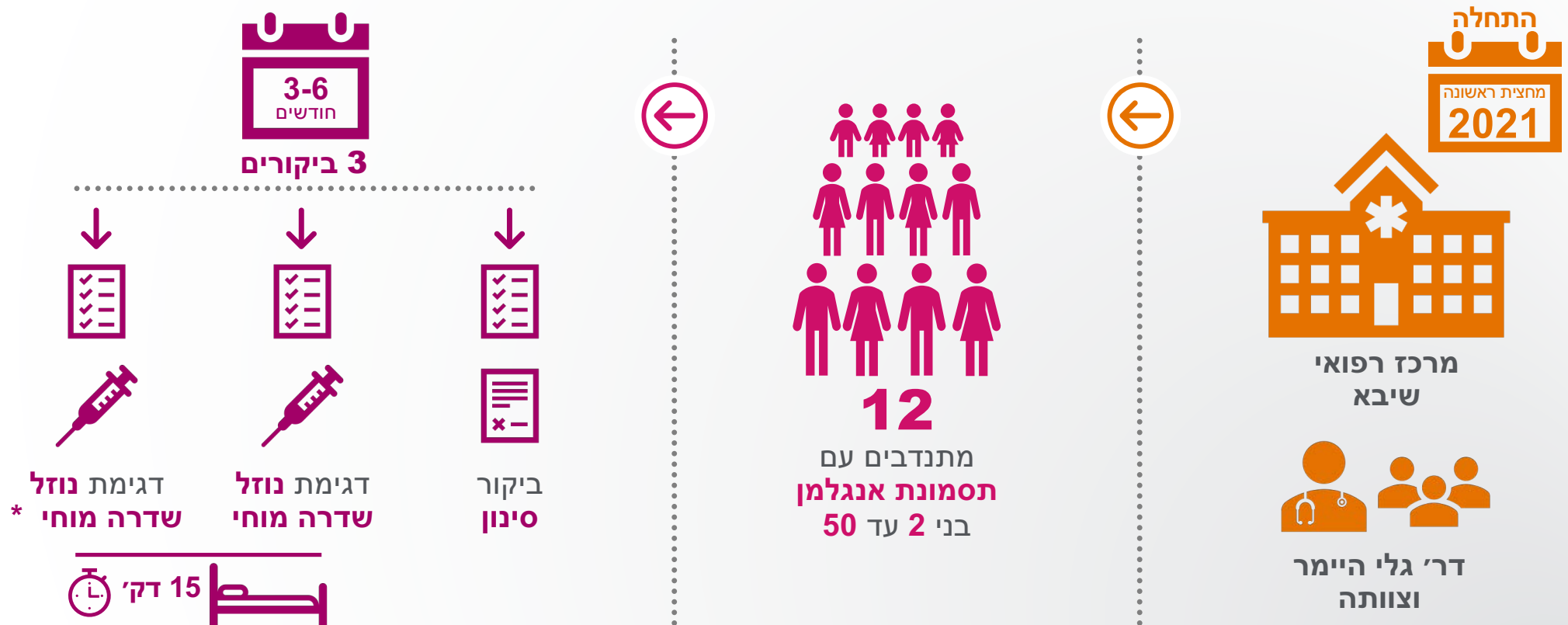
Biomarkers (סמנים ביולוגיים)

הם אלמנטים בגוף שניתן למדוד ואשר מסבירים לנו איך הגוף מגיב לטיפול

- דרושים להנחיית תהליך פיתוח התרופות
- עוזרים לנו בבחירת המינונים הנכונים של התרופה לבדיקה בניסוי
- משמשים לניטור בטיחות התרופה
- קובעים אם התרופה משפיעה על הגוף
- קיים פוטנציאל לזרז ניסויים קליניים

עיצוב המחקר על מהלכה הטיבעי של המחלה

מחקר תצפיתי, לא-טיפול, 3-6 חודשים



מחקר על מהלכה הטיבעי של המחלה מדוע צריכה משפחתך להשתתף?

עם מחקר זה נקים מאגר **נוזל שדרה מוחי** וכן **מאגר דם** למחקר תסמונת אנגלמן **ברמה התאית והמולקולרית בבני אדם**

זה יעזור **בזיהוי ותיעדוף** תחומי המיקוד למחקר עתידי

זה יספק לכם **הזדמנות ללמוד** יותר על המחלה ועל **תהליך הניסוי הקליני**

אתם עשויים לקבל שובר עדיפות מהמחקר שיכול לשמש לניסוי הקליני של התרופות של איוניס / ביוג'ן שיחל במחצית השנייה של השנה הבאה

IONIS™



פיתוח טיפול **המכוון למנגנון הסיבתי** של תסמונת אנגלמן, כמו ה-ASO שלנו, מחייב אותנו לדעת כל כך הרבה יותר על המחלה **ברמה הביולוגית**.

נכון להיום, אין לנו את המידע הזה
לגבי תסמונת אנגלמן



איוניס נוקטת **בגישה חדשנית** מאוד, שתאפשר לנו לא רק לפתח פריצת דרך פוטנציאלית, אלא גם **להבין את תסמונת אנגלמן ברמה המולקולרית** ולהבין הבדלים אינדיבידואליים



על ידי **השתתפותכם במחקר זה, תתרמו מידע חשוב** שלא רק איוניס, אלא **כל** חברות התרופות, תוכלנה להשתמש בו לפיתוח טיפולים לתסמונת אנגלמן



ללא מחקר זה, יהיה קשה יותר להסיק מסקנות לגבי **יעילותם של טיפולים תרופתיים**



עיצוב המחקר הקליני

פרטים ראשוניים



המחקר יחל במחצית השנייה של שנת 2021

אנו נבדוק **טווח גילאים רחב** בניסוי הראשון שלנו, אך קבוצות גיל שונות עשויות להיות מפוזרות ולהיכנס למחקר בזמנים שונים



חולי אנגלמן יעברו מספר **בדיקות ומבחנים** והורים/מטפלים יתבקשו למלא **שאלונים** בביקורים במרפאה וכן בבית.



אנו נעבוד עם **ד"ר היימר והמרכז הרפואי שיבא** שיהיה אתר הניסוי, ויהיו לנו עוד מספר אתרים קליניים בארה"ב ומחוצה לה

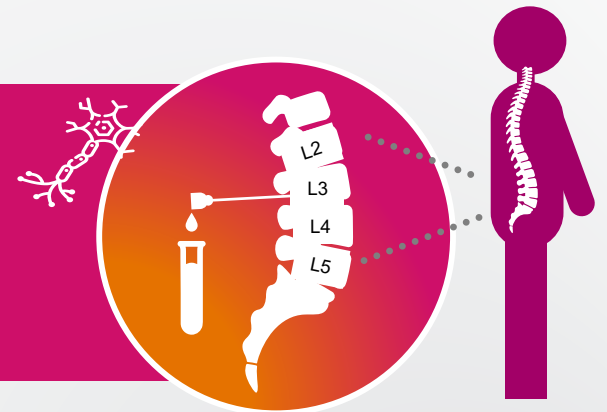


המטרה העיקרית של **מחקר ראשון** זה הינה **להעריך את הבטיחות והסבילות עם ה-ASO שלנו**, וכן למדוד שינויים קליניים בתחומים כמו תקשורת, קוגניציה, מוטוריקה, שינה ותפקוד יומיומי.

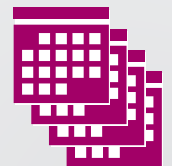


ניתן יהיה להשתמש **בשובר עדיפות** מהמחקר על מהלך המחלה להשתתפות במחקר תרופות ASO של Ionis

IONIS™



אורך הטיפול יכלול מספר מנות של תרופת ASO הניתנות **אחת ל-4 עד 8 שבועות ללא תרופת דמה (פלצבו)**



מה אתם יכולים לעשות?

- שקלו השתתפות במחקר מהלך המחלה לדגימת נוזל שדרה מוחי
- המשכו להיות פעילים ומעורים בקהילה
- השתתפו בהרשמה הגלובלית של תסמונת אנגלמן
 - באתר: <https://angelmanregistry.info>
- שוחחו עם הרופא שלכם לגבי ההתאמה שלכם ושל משפחותיכם להשתתפות בניסוי
- השתמשו באתר הניסויים הקליניים לתסמונת אנגלמן כדי ללמוד עוד על התהליך ועל כל הניסויים הקליניים הפעילים בתסמונת אנגלמן
 - באתר: <https://www.angelmanclinicaltrials.com/>
- הישארו מעודכנים לגבי וובינרים ועידכונים אחרים מאת איוניס

thank you

תודה רבה

צרו עמנו קשר:
patients@ionisph.com

IONIS™

תקווה



שאלות ותשובות עם איוניס והקהילה

מצטרפים אלינו עכשיו



ד"ר גלי היימר M.D., Ph.D.
מנהלת מרפאת תסמונת אנגלמן,
בית החולים לילדים ספרא,
המרכז הרפואי שיבא, ישראל



תמר שי, עורכת דין LL.B
מומחית לזכויות חולים, ייעוץ,
תמיכה והכוונה למשפחות
AS



איתן שי
מנכ"ל שותף
העמותה הישראלית לתסמונת
אנגלמן



אפרת רבינוביץ'
מנכ"לית שותפה
העמותה הישראלית לתסמונת
אנגלמן

בית החולים
אדמונד וילי ספרא
לילדים
המרכז הרפואי ע"ש ח.שיבא, תל השומר
בית החולים של המדינה

אנגלמן
העמותה
הישראלית
לתסמונת

IONIS™