

COMUNICADO DE PRENSA: Akcea e Ionis anuncian que TEGSEDI™ (Inotersen) ha sido aprobado en la Unión Europea

11 de julio 2018

Cambridge, Mass. y CARLSBAD, Calif., 11 de julio 2018 (GLOBE NEWSWIRE).

Akcea Therapeutics, Inc. (NASDAQ:AKCA), filial de Ionis Pharmaceuticals, Inc. y Ionis Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ:IONS), anunciaron hoy que TEGSEDI™ (Inotersen) ha recibido autorización comercial por parte de la Comisión Europea (CE) para el tratamiento del estadio I o estadio II de la polineuropatía en el paciente adulto con Amiloidosis Hereditaria por Trantiretina (AhTTR), tras la recomendación positiva de su autorización por el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CMUH) de la Agencia Europea del Medicamento (AEM).

“Con la decisión de la CE, TEGSEDI es actualmente el primer y único tratamiento dirigido al ARN en el mundo aprobado para pacientes con AhTTR. De administración subcutánea, el tratamiento con TEGSEDI se pone en manos del paciente aportando significantes beneficios según el estudio NEURO-TTR en la polineuropatía y calidad de vida de las personas que viven con esta seria y fatal enfermedad. Hoy es un día importante para la comunidad de AhTTR ya que creemos que TEGSEDI permite a las personas y familias afectadas por esta enfermedad seguir adelante con sus vidas” dice Paula Soteropoulos, directora ejecutiva en Akcea Therapeutics. “Hoy supone un hito para Akcea, la aprobación de nuestro primer medicamento. Es un logro que compartimos con la comunidad de pacientes valientes con AhTTR en Europa y en todo el mundo. Estamos preparados para lanzar TEGSEDI junto con nuestros servicios de soporte a pacientes y médicos en Europa”.

La formación anormal y agregación de la proteína Transtiretina (TTR) que provoca depósitos de amiloide en diferentes partes del cuerpo, es la causa subyacente de la AhTTR. TEGSEDI está diseñado para bloquear la producción de la proteína TTR. En el estudio NEURO-TTR, el tratamiento con TEGSEDI produjo reducciones sustanciales en los niveles de la proteína TTR, independientemente del tipo de mutación y estadio de la enfermedad.

“La AhTTR es una enfermedad hereditaria, progresiva y fatal con opciones limitadas de tratamiento. La aprobación de TEGSEDI nos conduce a una nueva época de tratamiento con una medicina eficaz que permite potencialmente a los pacientes con la enfermedad lograr un mayor grado de independencia”. Dice Teresa Coelho, neuróloga y neurofisióloga del Hospital San Antonio de Porto, en Portugal. “TEGSEDI ha demostrado unos rápidos y sostenidos beneficios en la mejora del curso de esta enfermedad y preservación de la calidad de vida”.

La aprobación de TEGSEDI por la CE está basada en los resultados de la fase 3 del estudio NEURO-TTR en pacientes con AhTTR con síntomas de polineuropatía. Los resultados de este estudio demostraron que los pacientes tratados con TEGSEDI experimentaron significantes beneficios comparando con los pacientes tratados

con placebo ambas variables coprimarias: Norfolk QOL-DN y mNIS+7, una medida de la progresión de la polineuropatía de la enfermedad.

TEGSEDI está asociado a riesgo de trombocitopenia y glomerulonefritis, siendo necesario un mayor control para su detección temprana y manejo de los riesgos identificados.

“Hoy estamos encantados de ver el éxito de nuestra investigación y el resultado de los esfuerzos en el desarrollo y aprobación de una nueva e importante medicina para los pacientes con AhTTR. Utilizando nuestra plataforma tecnológica, nos propusimos diseñar una terapia para bloquear la producción de la proteína TTR causa principal de esta enfermedad”. Dice Brett P. Monia, directora de operaciones de Ionis Pharmaceuticals. “La aprobación de TEGSEDI además establece a Ionis como empresa multi-producto. Estamos seguros de que el equipo experimentado de Akcea se entregará con la promesa de TEGSEDI. Estamos muy agradecidos con todos los médicos y pacientes que han participado en el programa clínico TEGSEDI y que han hecho posible la aprobación de este producto de referencia”.

Para información sobre la seguridad de TEGSEDI, incluyendo el método de administración, advertencias especiales y reacciones medicamentosas adversas, vea el Resumen Europeo de Características del Producto (RECP), disponible en la web de la EMA en www.ema.europa.eu.

TEGSEDI también se encuentra bajo revisión regulatoria en los Estados Unidos y Canadá “TEGSEDI’s U.S. Prescription Drug User Fee Act, or PDUFA, date is October 6, 2018”.

En abril Akcea obtiene la licencia con derechos mundiales para comercializar TEGSEDI de Ionis. En base a la autorización de la CE de TEGSEDI, Ionis recibirá la cantidad de 40 millones de dólares de Akcea, pagable en acciones ordinarias de Akcea- Los beneficios y pérdidas de TEGSEDI se dividirán en un 60% para Ionis y un 40% para Akcea.

INFORMACIÓN ACERCA DE TEGSEDI (INOTERSEN)

TEGSEDI (Inotersen) es un oligonucleótido antisentido (OAS) inhibidor de la producción humana de TTR. TEGSEDI está aprobado en la Unión Europea para el tratamiento de los estadios I y II de la polineuropatía en pacientes adultos con AhTTR y bajo revisión regulatoria en los Estados Unidos y Canadá actualmente.

La aprobación se basó en los datos de la fase 3 del estudio NEURO-TTR, aleatorizado (2:1), doble-ciego, controlado con placebo, estudio internacional en 172 pacientes con AhTTR con síntomas de polineuropatía. Durante los 15 meses de estudio se midieron los efectos de TEGSEDI en la función neurológica y en la calidad de vida, mediante la medición de los cambios respecto la puntuación basal en el mNIS+7 y Norfolk QOL-DN, en la puntuación total. TEGSEDI proporcionó un beneficio significativo en ambas variables coprimarias en el estudio NEURO-TTR, incluyendo mejora en la enfermedad, comparando con las medidas basales en ambas variables coprimarias en una parte considerable de los pacientes.

TEGSEDI está asociado a riesgo de trombocitopenia y glomerulonefritis. Se requiere de un control para ayudar a la detección precoz y manejo de estos riesgos identificados. Las reacciones adversas que se han observado más frecuentemente durante el tratamiento con TEGSEDI fueron efectos relacionados con reacciones en la zona de inyección. Las otras reacciones adversas más comúnmente reportadas (sobre un 10%) tuvieron que ver con náuseas, anemia, dolor de cabeza, pirexia, edema periférico, escalofríos, vómitos, trombocitopenia y disminución plaquetaria.

La aprobación también se basó en los datos del Neuro TTR Open Label (OLE), el cual es un estudio en curso para los pacientes que han completado el estudio NEURO-TTR, diseñado para evaluar a largo plazo la eficacia y seguridad de TEGSEDI.

El programa de acceso extendido de TEGSEDI (PAE) (NCT03400098) ha sido iniciado en los Estados Unidos y actualmente está inscribiendo a los pacientes seleccionados.

Para más información sobre TEGSEDI, por favor visite www.tegsedi.eu

INFORMACIÓN SOBRE LA AMILOIDOSIS HEREDITARIA POR TRANSTIRETINA (AhTTR)

La AhTTR es una enfermedad progresiva, sistémica, hereditaria y fatal causada por la formación de la proteína TTR y agregación de depósitos de amiloide TTR en diferentes tejidos y órganos de todo el cuerpo, incluyendo los nervios periféricos, corazón, tracto intestinal, ojos, riñones, sistema nervioso central, tiroides y médula ósea. La progresiva acumulación de depósitos de amiloide TTR en estos tejidos y órganos conlleva a una disfunción sensorial, motora y autonómica, a menudo ocasionando efectos debilitantes en múltiples aspectos de la vida del paciente. Los pacientes con AhTTR a menudo presentan un fenotipo mixto y experimentan síntomas superpuestos de polineuropatía y cardiomiopatía.

Por último, la AhTTR causa la muerte dentro de los 3 y 15 años desde el inicio de los síntomas. Las opciones terapéuticas para el tratamiento de los pacientes con AhTTR son limitadas y actualmente no hay medicamentos que modifiquen la enfermedad aprobados. Existen unos 50.000 pacientes estimados con AhTTR en todo el mundo. Información adicional sobre AhTTR, incluido un listado completo de todas las organizaciones que apoyan la comunidad de pacientes con AhTTR de todo el mundo. Está disponible en www.hattrchagethecourse.com.

INFORMACIÓN SOBRE AKCEA THERAPEUTICS

Akcea Therapeutics, Inc., una filial de Ionis Pharmaceutical, es una compañía biofarmacéutica centrada en desarrollar y comercializar medicamentos para tratar pacientes con enfermedades raras y graves. Akcea está avanzando en una potente línea de 6 nuevos medicamentos incluyendo TEGSEDI™ (Inotersen), WAYLIVRA™ (Volanesorsen), AKCEA-APO(a)-LL_{Rx}, AKCEA-ANGPTL3-L_{Rx}, AKCEA-APOCIII-L_{Rx}, and AKCEA-TTR-L_{Rx}, todos con el potencial de tratar múltiples enfermedades. Estos 6 medicamentos fueron descubiertos y están siendo co-desarrollados por

Ionis. TEGSEDI está aprobado en la Unión Europea para el tratamiento del estadio I o II de la polineuropatía en pacientes adultos con AhTTR y actualmente se encuentra bajo revisión regulatoria en los Estados Unidos y Canadá. WAYLIVRA está bajo revisión regulatoria en la Unión Europea, en los Estados Unidos y en Canadá para el tratamiento del síndrome de quilomicronemia familiar (SQF), y actualmente se encuentra en fase 3 de desarrollo clínico para el tratamiento de personas con lipodistrofia familiar parcial (LFP). Akcea está constituyendo la infraestructura para comercializar sus medicamentos a nivel mundial. Akcea es una compañía global con sede en Cambridge, Massachusetts. Información adicional sobre Akcea está disponible es www.akceatx.com.

INFORMACIÓN SOBRE IONIS PHARMACEUTICALS, INC.

Ionis es la compañía líder en descubrir y desarrollar medicamentos basados en el ARN, centrada en el desarrollo de medicamentos para pacientes que tienen importantes necesidades médicas no cubiertas, como son los pacientes con enfermedades severas y raras.

Usando su tecnología patentada antisentido, Ionis ha creado una gran línea de medicamentos primeros y/o mejores en su categoría, con más de 40 medicamentos en desarrollo. SPINRAZA® (Nursinersen) ha sido aprobado en los mercados globales para el tratamiento de la Distrofia Muscular Espinal (AME). Biogen es el responsable de comercializar SPINRAZA. TEGSEDI™ (Inotersen) y WAYLIVRA™ (Volanesorsen), son dos medicamentos antisentido que Ionis descubrió y desarrolló con éxito mediante los estudios de la fase 3. TEGSEDI está aprobado en la Unión Europea para el tratamiento del estadio I y II de la polineuropatía en pacientes adultos con AhTTR, y actualmente bajo revisión regulatoria en los Estados Unidos y Canadá. WAYLIVRA está bajo revisión regulatoria en la Unión Europea, Estados Unidos y Canadá para el tratamiento de pacientes con el síndrome de quilomicronemia familiar. WAYLIVRA está también en fase 3 del estudio en pacientes con lipodistrofia familiar parcial. Akcea therapeutics, una filial de Ionis centrada en el desarrollo y comercialización de medicamentos para tratar pacientes con enfermedades severas y raras, comercializará TEGSEDI y WAYLIVRA si se aprueban.

Las patentes de Ionis proporcionan una fuerte y extensa protección para sus medicamentos y tecnología.

Información adicional sobre Ionis está disponible en www.ionispharma.com.

DECLARACIONES DE FUTURO DE IONIS Y AKCEA

Este comunicado de prensa incluye declaraciones prospectivas sobre el negocio de Akcea Therapeutics, Inc. y Ionis Pharmaceuticals, Inc. y sobre el potencial terapéutico y comercial de TEGSEDI™. Cualquier declaración que describa los objetivos de Akcea o Ionis, proyecciones financieras u otras intenciones y creencias, incluyendo el potencial comercial de TEGSEDI u otros medicamentos de Akcea o Ionis en desarrollo, es una declaración prospectiva y debe considerarse una declaración en riesgo. Tales declaraciones están sujetas a ciertos riesgos e

incertidumbres, particularmente los inherentes al proceso de descubrimiento, desarrollo y comercialización de medicamentos que son efectivos y seguros, como terapéuticos para el uso humano y en el esfuerzo de conseguir un negocio alrededor de tales medicamentos. Las declaraciones prospectivas de Akcea e Ionis reflejan el juicio de buena fe de su gestión, estas declaraciones están basadas solo en hechos y factores actualmente conocidos por Akcea e Ionis. Como resultado, se le advierte que no debe confiar en estas declaraciones prospectivas. Estos y otros riesgos sobre los programas de Akcea e Ionis se describen con detalles adicionales en los informes trimestrales de Ionis y Akcea en el formulario 10-Q y en los informes anuales del formulario 10-K están archivados en la CES. Copias de estos y otros documentos están disponibles en cada compañía.

En este comunicado de prensa, a menos que el contexto requiera lo contrario, "Ionis", "Akcea", "compañía", "nosotros", "nuestro" y "nos" se refieren a Ionis Pharmaceuticals y/o Akcea Therapeutics.

Ionis Pharmaceuticals™ es una marca registrada de Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Akcea Therapeutics™, TEGSEDI™ y WAYLIVRA™ son marcas comerciales de Akcea Therapeutics, Inc.