Biogen

De nouvelles données d'efficacité et de sécurité d'une dose plus élevée de Nusinersen

présentées au congrès de la *World Muscle Society* soulignent la possibilité

de renforcer les bénéfices du traitement par nusinersen dans l'amyotrophie spinale (SMA)

- Les résultats des parties B et C de l'étude DEVOTE confirment les bénéfices cliniques d'une dose plus élevée de nusinersen (50mg/28 mg) pour les personnes déjà traitées ainsi que pour celles n'ayant jamais reçu de traitement par nusinersen.
- Ce schéma posologique expérimental montre également un ralentissement plus rapide de la neurodégénérescence, tel que mesuré par les neurofilaments.
- Biogen prévoit de soumettre des demandes d'autorisation à travers le monde pour ce schéma posologique de plus forte dose de nusinersen.

Cambridge, Mass. – 10 octobre 2024 - Biogen Inc. (Nasdaq : BIIB) annonce aujourd'hui les résultats détaillés des parties B et C de l'étude de phase 2/3 DEVOTE, évaluant la sécurité et l'efficacité d'un schéma posologique expérimental de dose plus élevée de nusinersen dans l'amyotrophie spinale (SMA), montrant des bénéfices à la fois chez les patients déjà traités et chez les personnes naïves de traitement vivant avec une SMA à début infantile ou à début plus tardif. Ce schéma posologique expérimental à dose plus élevée de nusinersen comprend une posologie de charge plus rapide, deux doses de 50 mg à 14 jours d'intervalle, et une posologie d'entretien plus élevée, 28 mg, tous les 4 mois, par rapport au schéma posologique

autorisé pour le nusinersen (SPINRAZA ®
). Les données, qui sont présentées lors du Congrès 2024 de la
World Muscle Society (WMS)
organisé du 8 au 12 octobre 2024 à Prague, mettent en évidence le potentiel de ce schéma posologique expérimental à dose plus élevée pour aider à répondre aux besoins non satisfaits observés dans la SMA.

«Il est frappant de constater que le schéma posologique à dose plus élevée réduit plus rapidement les neurofilaments, ce qui nous indique qu'il ralentit plus rapidement la neurodégénérescence. Nous savons à quel point cet élément est crucial pour les personnes vivant avec la SMA. Au fil du temps, nous constatons que le schéma posologique à dose plus élevée est bénéfique pour tous les phénotypes de la SMA», déclare le docteur Thomas Crawford, codirecteur de la clinique de l'Association de la dystrophie musculaire
(Muscular Dystrophy Association
Clinic) à la
Johns Hopkins Medicine. «Malgré l'administration d'une quantité beaucoup plus importante de traitement, le schéma posologique à dose plus élevée semble avoir un profil de sécurité similaire à celui du schéma posologique autorisé de 12 mg»
, ajoute-t-il
.

DEVOTE est une étude en trois parties qui a recruté 145 participants de tous âges et de tous types de SMA. La cohorte pivot de la partie B (n=75) a atteint son critère d'évaluation principal : les nourrissons symptomatiques naïfs de traitement et ayant reçu la dose plus élevée ont vu leur fonction motrice s'améliorer de manière significative, comme l'a mesuré le *Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders*
(CHOP-INTEND), par rapport à un groupe apparié préspécifié sham (non traité) de l'étude de phase 3 ENDEAR (+15,1 vs -11,1, P