

## Rapports AveXis sur le programme de thérapie génique Rett : AVXS-201 par RSRT [English Original](#)

| 28 février 2018 Rapports d'AveXis sur le programme de thérapie génique du syndrome de Rett - Un essai clinique devrait débuter d'ici un an.

En juin 2017, AveXis a annoncé qu'en se basant sur les données encourageantes générées par le Consortium de thérapie génique du RSRT, elle ferait progresser le principal candidat à la thérapie génique MECP2 vers des essais cliniques.

Hier, l'entreprise a présenté une mise à jour sur son programme du syndrome de Rett lors d'une [conférence téléphonique](#) pour présenter ses résultats financiers de 2017, ses réalisations récentes et les jalons à venir. Nous vous encourageons à écouter la conférence téléphonique, qui est intéressante et encourageante. Veuillez noter que les questions et réponses à la fin de l'appel traitent d'un certain nombre de questions pertinentes soulevées par les analystes au sujet du programme Rett. Brian Kaspar, directeur scientifique d'AveXis et ancien membre du Consortium de thérapie génique a présenté les [données précliniques avec ces diapositives](#). Un [communiqué de presse](#) est également disponible.

Vous trouverez ci-dessous les principaux points saillants de l'appel.

- AveXis est sur la bonne voie pour rencontrer la FDA au prochain trimestre afin de présenter les données d'AVXS-101, produit de thérapie génique SMA 1 (Atrophie Musculaire Spinale de type 1). Cette soumission de données, appelée demande de licence de produits biologiques, est la dernière étape avant que la FDA puisse approuver l'AVXS-101 et le rendre disponible sur le marché.
- Lancement d'une étude de phase 1 sur l'AVXS-101 dans la SMA de type 2 par voie intrathécale (injection dans le liquide céphalorachidien). Il s'agit de la même voie d'administration qui sera utilisée dans le cadre de l'essai sur le syndrome de Rett. Les deux premiers patients qui ont été traités par ce mode d'administration n'ont signalé aucun effet indésirable.
- Début d'un essai pivot pour l'AVXS-101 en Europe. Pivot signifie que l'essai est destiné à fournir suffisamment de données pour approbation par l'équivalent européen de la FDA, l'EMA. Il est important pour toutes nos familles européennes de savoir qu'AveXis a l'infrastructure et le désir de commercialiser leurs produits en Europe et aux Etats-Unis.
- Obtention des droits exclusifs de REGENXBIO sur le système de distribution de thérapie génique AAV9 et élargissement de leur programme de thérapie génique pour poursuivre le syndrome de Rett (AVXS-201) et la sclérose latérale amyotrophique (AVXS-301).
- Les études précliniques sur souris utilisant l'AVXS-201 ont conduit à la plus longue durée de vie à ce jour d'une souris Rett, avec une réduction soutenue des symptômes.

- Les études sur les primates utilisant l'AVXS-201 ne montrent aucun signe d'effets indésirables ou de surexpression du MECP2.
- La production d'AVXS-201 de qualité d'essai clinique à l'aide de la plate-forme de fabrication évolutive d'AveXis est en cours.
- Il est prévu de candidater à des drogues nouvelles de recherche (DNR) pour Rett et la SLA à la fin de 2018/début 2019. Une DNR est la proposition à la FDA d'entreprendre des essais sur des humains. Si la FDA n'a pas de problèmes substantiels avec la demande, un essai clinique peut avoir lieu 30 jours après la soumission de la DNR.

Nous sommes ravis des progrès réalisés par AveXis dans l'avancement du programme AVXS-201. **Suivant l'approbation de la FDA, il est probable qu'un essai clinique de thérapie génique débutera d'ici un an.** Nous informerons la communauté lorsque les détails de l'essai seront disponibles.

Nous remercions sincèrement toutes nos familles Rett et nos donateurs, aux États-Unis et ailleurs, qui ont joué un rôle crucial pour nous amener à ce point.