

# AveXis/Novartis Release Statement on AVXS-201

by RSRT | August 22, 2019

## **Comunicado oficial de AveXis/Novartis sobre AVXS-201**

Por RSRT | 22 de agosto de 2019

Nuestra comunidad ha estado esperando ansiosamente las noticias de AveXis / Novartis sobre el inicio del ensayo clínico que prueba AVXS-201, un producto de terapia génica para el Síndrome de Rett. Ahora tenemos respuestas sobre por qué la prueba aún no ha comenzado. A continuación podéis ver un Comunicado a la Comunidad Rett emitida por AveXis / Novartis, así como el Comunicado de RSRT. Para aquellos que buscan información adicional y perspectiva, también hemos incluido algunos enlaces a continuación.

---

### **COMUNICADO DE AVEVIS:**

Querida comunidad del Síndrome de Rett,

Es posible que hayáis visto en noticias recientes que el martes 6 de agosto de 2019, la FDA emitió un comunicado por cautela en los datos de la solicitud de aprobación de Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec-xioi), una terapia génica actualmente en el mercado para pacientes menores de 2 años de edad con atrofia muscular espinal (AME). La FDA y AveXis apoyan el uso continuo de Zolgensma debido a la totalidad de la evidencia que respalda su seguridad y efectividad general. Trabajamos y seguiremos trabajando en estrecha colaboración con la FDA para actualizar adecuadamente nuestra presentación y abordar cualquier brecha de calidad identificada. Seguimos confiando plenamente en la seguridad, calidad y eficacia de Zolgensma.

Debido a la preocupación sobre la integridad de los datos relacionadas con un procedimiento específico de prueba en animales utilizado en el desarrollo de Zolgensma e incluido en la solicitud, también hemos decidido revisar la calidad de los datos y el cumplimiento del trabajo preclínico realizado para AVXS-201, nuestro candidato a terapia génica del Síndrome de Rett. Por precaución, y para asegurarnos de que tenemos un paquete de datos robusto para la FDA, hemos elegido repetir y agregar estudios preclínicos fundamentales adicionales, así como nuevos controles de calidad. Una vez que se completen

estos estudios, enviaremos el IND revisado (solicitud de nuevo fármaco en investigación) a la FDA con el objetivo de avanzar rápidamente hacia ensayos clínicos en pacientes con Síndrome de Rett. Esperamos que llevar a cabo estos estudios adicionales y completar el IND nos tomará hasta mediados de 2020. En ese momento estaremos en condiciones de proporcionar más actualizaciones a la comunidad del Síndrome de Rett.

Somos conscientes de que estas noticias causarán preocupación y decepción. Tened por seguro que AveXis sigue firme y centrado en nuestro compromiso con el programa Rett y con garantizar los más altos niveles de transparencia e integridad con los pacientes y proveedores que atendemos, y con las agencias de salud.

*“El síndrome de Rett sigue siendo un objetivo fundamental para AveXis y mantenemos un alto carácter de urgencia para avanzar en los estudios clínicos para AVXS-201. Esperamos servir como miembro de confianza de la comunidad del Síndrome de Rett y asociarnos con pacientes, defensores, médicos y reguladores mientras trabajamos para comprender mejor el impacto clínico de la terapia génica sobre esta enfermedad devastadora”. - Dave Lennon, Presidente de AveXis*

También queríamos compartir que Page Bouchard, DVM, fue nombrado Vicepresidente Senior de Investigación y Director Científico, AveXis, a partir del 5 de agosto de 2019. El Dr. Bouchard es un veterano de la industria - 27 años- con experiencia en más de 100 proyectos de Nuevos Medicamentos en Investigación y docenas de Solicitudes de Nuevos Medicamentos / Solicitudes de Licencias de Productos Biológicos. Lleva en Novartis 10 años y más recientemente fue el Jefe Global de Seguridad Preclínica para los Institutos Novartis de Investigación Biomédica (NIBR). Lidera el equipo de gestión responsable de nuestro programa Rett.

Atentamente,

El Equipo AveXis

Indication and Important Safety Information for ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) What is ZOLGENSMA?

ZOLGENSMA is a prescription gene therapy used to treat children less than 2 years old with spinal muscular atrophy (SMA). ZOLGENSMA is given as a one-time infusion into the vein. ZOLGENSMA was not evaluated in patients with advanced SMA.

What is the most important information I should know about ZOLGENSMA?

- ZOLGENSMA can cause acute serious liver injury. Liver enzymes could become elevated and may reflect acute serious liver injury in children who receive ZOLGENSMA.
- Patients will receive an oral corticosteroid before and after infusion with ZOLGENSMA and will undergo regular blood tests to monitor liver function.
- Contact the patient's doctor immediately if the patient's skin and/or whites of the eyes appear yellowish, or if the patient misses a dose of the corticosteroid or vomits it up.

What should I watch for before and after infusion with ZOLGENSMA?

- Viral respiratory infections before or after ZOLGENSMA infusion can lead to more serious complications.

Contact the patient's doctor immediately if you see signs of a possible viral respiratory infection such as coughing, wheezing, sneezing, runny nose, sore throat, or fever.

- Decreased platelet counts could occur following infusion with ZOLGENSMA. Seek immediate medical attention if a patient experiences unexpected bleeding or bruising.

What do I need to know about vaccinations and ZOLGENSMA?

- Talk with the patient's doctor to decide if adjustments to the vaccination schedule are needed to accommodate treatment with a corticosteroid.
- Protection against respiratory syncytial virus (RSV) is recommended.

Do I need to take precautions with the patient's bodily waste?

Temporarily, small amounts of ZOLGENSMA may be found in the patient's stool. Use good hand hygiene when coming into direct contact with bodily waste for 1 month after infusion with ZOLGENSMA.

Disposable diapers should be sealed in disposable trash bags and thrown out with regular trash.

What are the possible or likely side effects of ZOLGENSMA?

The most common side effects that occurred in patients treated with ZOLGENSMA were elevated liver enzymes and vomiting.

The safety information provided here is not comprehensive. Talk to the patient's doctor about any side effects that bother the patient or that don't go away.

You are encouraged to report suspected side effects by contacting the FDA at 1-800-FDA-1088 or [www.fda.gov/medwatch](http://www.fda.gov/medwatch), or AveXis at 833-828-3947. Please see the [Full Prescribing Information](#).



## COMUNICADO DE RSRT:

Todos en RSRT nos quedamos impactados y decepcionados al leer el [comunicado de la FDA emitido el 6 de agosto](#) sobre la manipulación de datos por AveXis / Novartis para su producto de terapia génica de atrofia muscular espinal, Zolgensma. Lo más importante fue la cuestión de cómo esta revelación afectaría al desarrollo de AVXS-201, el producto de terapia génica del Síndrome de Rett, por lo que pasamos las siguientes dos semanas reuniendo información. El 22 de agosto AveXis / Novartis emitió un comunicado a la comunidad del Síndrome de Rett.

La manipulación de datos de Zolgensma significa un retraso en el inicio del ensayo clínico Rett de un año o más. Dado que esta prueba estaba a punto de

comenzar, y que el tiempo es esencial para nuestras hijas, la retraso es un revés para nuestra comunidad. Sin embargo, nos alienta que AVXS-201 siga siendo una prioridad para AveXis / Novartis.

Hemos hablado con la dirección de AveXis, incluido el presidente, Dave Lennon, y estamos procediendo a establecer una reunión con el nuevo Director Científico, Page Bouchard. RSRT tiene relaciones y recursos extensos y arraigados entre la comunidad científica y médica, así como un profundo conocimiento del panorama científico de Rett. Reconociendo que la ciencia que sustenta el ensayo debe ser rigurosamente validada, RSRT ha asegurado a AveXis / Novartis que haremos todo lo posible para facilitar que AVXS-201 llegue a los hospitales lo más rápido posible.

Uno de los principios fundamentales de RSRT es impulsar paralelamente múltiples programas potencialmente curativos. Si bien somos tan optimistas como siempre en el potencial de la terapia génica para Rett, nunca pondremos todos los huevos en la misma canasta, incluida la terapia génica. Tened la seguridad de que nuestros otros *programas específicos de MECP2* están avanzando.

Nos anima el hecho de que los datos cuestionados no alteran la seguridad o eficacia del producto SMA y que Zolgensma permanece en el mercado y está salvando vidas drásticamente. Esperamos que a nuestras niñas con Rett se les brinde, lo antes posible, la misma oportunidad de curarse que a los niños con AME.