- L'ataxie de Friedreich est une maladie neurologique rare, génétique, invalidante, et réduisant l'espérance de vie des patients [1].
- Le traitement par SKYCLARYS a démontré des bénéfices pour les patients, comparativement à un placebo.
- Biogen s'appuie sur son expertise et ses compétences dans le domaine des maladies rares afin que les patients puissent bénéficier de ce traitement innovant.

Cambridge, États-Unis. – 13 février 2024 – Biogen Inc. (Nasdaq : BIIB) annonce que la Commission européenne a autorisé la mise sur le marché de SKYCLARYS®
(omaveloxolone) dans le traitement de l'ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de plus de 16 ans. SKYCLARYS est le premier traitement indiqué dans l'Union européenne pour cette maladie rare, génétique, neuromusculaire, à caractère évolutif [1]
.

«Dans ma pratique clinique, j'ai pu constater les effets dévastateurs de l'ataxie de Friedreich sur les patients et leur famille » déclare Sylvia Boesch, M.D., Msc, investigatrice principale de l'étude MOXIe et directrice du Centre des mouvements anormaux rares du département de neurologie de l'Université de médecine d'Innsbruck, en Autriche.
«
Les patients atteints d'ataxie de Friedreich traités avec SKYCLARYS dans le cadre de l'essai clinique ont connu des améliorations cliniquement significatives et importantes dans leur vie quotidienne. L'autorisation de SKYCLARYS par la Commission européenne fait souffler un vent d'optimisme chez les patients et les professionnels de santé concernés, car elle pourrait nous permettre d'entrer dans une nouvelle ère pour la prise en charge de l'ataxie de Friedreich.
»

L'ataxie de Friedreich est l'ataxie héréditaire la plus courante[2,3]. Les premiers symptômes apparaissent généralement dans l'enfance et comprennent une perte progressive de coordination, une faiblesse musculaire et de la fatigue
[4]
. Au fur et à mesure que la maladie progresse, les personnes vivant avec l'ataxie de Friedreich peuvent également souffrir de déficience visuelle, de perte auditive, de problèmes d'élocution et de déglutition, de diabète, de scoliose et de graves problèmes cardiaques
[5]
. De nombreuses personnes atteintes de l'ataxie de Friedreich utilisent des aides à la marche et ont souvent besoin d'un fauteuil roulant dans les 10 à 20 ans suivant leur diagnostic
[2]
. Malheureusement, les complications de l'ataxie de Friedreich contribuent à une espérance de vie de 37 ans en moyenne
[5-7]
.

« Biogen est fière d’ajouter SKYCLARYS à son offre de médicaments et de répondre à un important besoin non satisfait en apportant le premier traitement aux personnes vivant avec l’ataxie de Friedreich en EuropeÂÂ », déclare Priya Singhal, Docteure en médecine et Directrice mondiale du développement de Biogen.
«Notre équipe s’engage à collaborer avec la communauté médicale et les autorités de santé des différents pays de l’Union européenne afin de permettre d’urgence l’accès au traitement pour les patients. Nous remercions sincèrement la communauté de l’ataxie de Friedreich pour ses contributions qui ont permis le développement de SKYCLARYS et rendu possible l’autorisation obtenue aujourd’hui possible».

L’autorisation de SKYCLARYS a été octroyée par la Commission européenne sur la base des données relatives à l’efficacité et la tolérance du traitement issues de l’essai clinique versus placebo MOXIe partie 2, d’une durée de 48ÂÂ semaines.
À la fin de cette période, une amélioration significative des scores mesurés à l’aide de l’échelle mFARS (
modified Friedreich Ataxia Rating Scale)
a été observée chez les patients ayant reçu SKYCLARYS. SKYCLARYS a démontré son intérêt par rapport au placebo concernant toutes les composantes de l’évaluation mFARS,

notamment la déglutition (bulbaire), la coordination des membres supérieurs, la coordination des membres inférieurs et le maintien dans la position verticale.
Des données complémentaires étayant ces résultats ont été fournies dans une analyse post hoc avec appariement sur score de propension dans laquelle les patients traités par SLYCLARYS lors de l’étude MOXIe (extension) présentaient un score inférieur sur l’échelle mFARS à 3ÂÂ ans, comparé à un groupe de patients issus d’une étude sur l’histoire naturelle de la maladie. Les effets indésirables les plus fréquents observés chez les patients traités par Skyclarys sontÂÂ : augmentation des enzymes hépatiques, perte de poids, nausées, fatigue, diarrhée, douleur oropharyngée, vomissements, dorsalgie, contractures musculaires et grippe et diminution de l’appétit .

«L'autorisation de SKYCLARYS par la Commission européenne est une étape importante pour l'extension de l'accès au traitement à travers le monde, puisqu'elle apporte le premier traitement autorisé à la communauté de l'ataxie de Friedreich dans l'UE», a déclaré Jennifer Farmer, Présidente de l'Alliance de recherche sur l'ataxie de Friedreich (FARA).
«FARA remercie tous les chercheurs, les centres de recherche, les personnes atteintes d'ataxie de Friedreich et leur famille, les associations de patients, Biogen et l'Agence européenne des médicaments pour les efforts de recherche, de développement et de sensibilisation qui ont abouti à cette autorisation. Nous nous réjouissons de poursuivre notre collaboration avec la communauté de l'ataxie de Friedreich dans le but d'élargir encore l'accès au traitement partout où des patients en ont besoin».

«Au nom d’Euro-ataxia et de ses membres, je me réjouis de l’approbation par la Commission européenne de SKYCLARYS, un traitement très attendu pour les adultes atteints d’ataxie de Friedreich dans l’Union européenne », souligne Andreas Nadke, président de l’association Euro-ataxia. « *Les groupes de patients de nos membres travaillent et attendent ce jour depuis de nombreuses années. Nous sommes convaincus qu’il s’agira d’un premier pas réussi et gratifiant dans le traitement de l’ataxie de Friedreich».*

Pour les informations détaillées sur le traitement, veuillez consulter le résumé des caractéristiques du produit sur le site Internet de l'Agence européenne des médicaments à l'adresse suivante : www.ema.europa.eu . SKYCLARYS est approuvé et commercialisé aux États-Unis et Biogen échange actuellement avec les autorités réglementaires d’autres régions.

À propos de SKYCLARYS® (omaveloxolone)

SKYCLARYS® (omaveloxolone) est un médicament administré une fois par jour par voie orale indiqué dans le traitement de l’ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de plus de 16 ans aux États-Unis et dans l’Union européenne. La FDA l’a désigné comme médicament orphelin et médicament pour une maladie pédiatrique rare et l’a évalué dans le cadre d’une procédure accélérée, dite « *fast track* ». La Commission européenne a accordé à SKYCLARYS la désignation de médicament orphelin en Europe pour le traitement de l’ataxie de Friedreich.

À propos de l’ataxie de Friedreich

L’ataxie de Friedreich est une maladie génétique rare caractérisée par une dégénérescence neuromusculaire, à caractère évolutif et invalidant. Elle diminue l’espérance de vie des personnes qui en sont atteintes. Elle est la plus fréquente des ataxies héréditaires.[2,3] Les premiers symptômes de l'AF, tels que la perte progressive de coordination, la faiblesse musculaire et la fatigue, apparaissent généralement dans l’enfance et peuvent s’ajouter à d'autres maladies.[4]

La plupart des personnes atteintes d’ataxie de Friedreich devront utiliser un fauteuil roulant dans les 10 à 20ÂÂ ans suivant l’apparition des premiers symptômes.[2]

L’espérance de vie moyenne des patients atteints d’ataxie de Friedreich est de seulement 37 ans, bien qu’avec des soins appropriés et ciblés, certains puissent vivre de nombreuses années après avoir été immobilisés en fauteuil roulant.
5-7

À propos de Biogen

Créée en 1978, Biogen est une entreprise de biotechnologies pionnière en science, qui œuvre pour mettre au point des nouveaux médicaments visant à transformer la vie des patients. Biogen est à l’origine de nombreuses innovations thérapeutiques, incluant une large offre thérapeutique dans la sclérose en plaques, le premier traitement autorisé dans l’amyotrophie spinale et deux traitements co-développés dans la maladie d'Alzheimer (aux États-Unis), le premier traitement ciblant une forme génétique de la sclérose latérale amyotrophique ou Maladie de Charcot (aux États-Unis), le premier traitement oral autorisé dans la dépression post-partum (aux États-Unis) et le premier traitement autorisé dans l’ataxie de Friedreich. Biogen s’engage au service de l’humain grâce à la science, pour bâtir un monde en meilleure santé, plus durable et plus équitable.

Nous publions régulièrement des informations susceptibles d'être importantes pour les investisseurs sur notre site web à l'adressewww.biogen.com.

Suivez-nous sur les médias sociaux Facebook , LinkedIn , X , YouTube .

Biogen Safe Harbor

This news release contains forward-looking statements about the potential benefits, safety and efficacy of SKYCLARYS; potential regulatory discussions, submissions and approvals and the timing thereof; the treatment of Friedreich's ataxia; the potential of Biogen's commercial business and pipeline programs, including Friedreich's ataxia; and risks and uncertainties associated with drug development and commercialization. These statements may be identified by words such as "aim," "anticipate," "believe," "could," "estimate," "expect," "forecast," "intend," "may," "plan," "possible," "potential," "will," "would" and other words and terms of similar meaning. Drug development and commercialization involve a high degree of risk, and only a small number of research and development programs result in commercialization of a product. Results in early-stage clinical studies may not be indicative of full results or results from later stage or larger scale clinical studies and do not ensure regulatory approval. You should not place undue reliance on these statements.

These statements involve risks and uncertainties that could cause actual results to differ materially from those reflected in such statements, including without limitation unexpected concerns that may arise from additional data, analysis or results obtained during clinical studies; the occurrence of adverse safety events; risks of unexpected costs or delays; the risk of other unexpected hurdles; regulatory submissions may take longer or be more difficult to complete than expected; regulatory authorities may require additional information or further studies, or may fail or refuse to approve or may delay approval of Biogen's drug candidates, including omaveloxolone; actual timing and content of submissions to and decisions made by the regulatory authorities regarding omaveloxolone; uncertainty of success in the development and potential commercialization of omaveloxolone; failure to protect and enforce Biogen's data, intellectual property and other proprietary rights and uncertainties relating to intellectual property claims and challenges; product liability claims; third party collaboration risks; and the direct and indirect impacts of the ongoing COVID-19 pandemic on Biogen's business, results of operations and financial condition. The foregoing sets forth many, but not all, of the factors that could cause actual results to differ from Biogen's expectations in any forward-looking statement. Investors should consider this cautionary statement as well as the risk factors identified in Biogen's most recent annual or quarterly report and in other reports Biogen has filed with the U.S. Securities and Exchange Commission. These statements speak only as of the date of this news release. Biogen does not undertake any obligation to publicly update any forward-looking statements.

Références :

1. Friedreich’s Ataxia Research Alliance. “What is FA?” Available at: https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia#
.
Consulté en février 2024.

2. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Friedreich Ataxia. Available at: https://www.ninds.nih.gov/health-information/disorders/friedreich-ataxia
. Consulté en février 2024.

3. Schulz JB, Boesch S, Bürk K, Dürr A, Giunti P, Mariotti C, Pousset F, Schöls L, Vankan P, Pandolfo M. Diagnosis and treatment of Friedreich ataxia: a European perspective. Nat Rev Neurol. 2009 Apr;5(4):222-34. doi: 10.1038/nrneurol.2009.26. PMID: 19347027.

4. Fogel BL, Perlman S. Clinical features and molecular genetics of autosomal recessive cerebellar ataxias. Lancet Neurol. 2007 Mar;6(3):245-57. doi: 10.1016/S1474-4422(07)70054-6. PMID: 17303531.

5. Parkinson MH, Boesch S, Nachbauer W, Mariotti C, Giunti P. Clinical features of Friedreich’s ataxia: classical and atypical phenotypes. J Neurochem. 2013 Aug;126 Suppl 1:103-17. doi: 10.1111/jnc.12317. PMID: 23859346.

6. Tsou AY, Paulsen EK, Lagedrost SJ, Perlman SL, Mathews KD, Wilmot GR, Ravina B, Koeppen AH, Lynch DR. Mortality in Friedreich ataxia. J Neurol Sci. 2011 Aug 15;307(1-2):46-9. doi: 10.1016/j.jns.2011.05.023. Epub 2011 Jun 8. PMID: 21652007.

7. Corben LA, Collins V, Milne S, Farmer J, Musheno A, Lynch D, Subramony S, Pandolfo M, Schulz JB, Lin K, Delatycki MB; Clinical Management Guidelines Writing Group. Clinical management guidelines for Friedreich ataxia: best practice in rare diseases. Orphanet J Rare Dis. 2022 Nov 12;17(1):415. doi: 10.1186/s13023-022-02568-3. PMID: 36371255; PMCID: PMC9652828.