



15 de agosto de 2024

Estimada Comunidad de Enfermedades Priónicas,

Nos dirigimos a ustedes hoy para informarles de que se ha reanudado el reclutamiento para el ensayo clínico de fase 1/2a de Ionis del ION717 (NCT06153966), denominado PrProfile, en personas con enfermedad priónica sintomática.

A principios de este año, se instituyó una pausa global en el reclutamiento según el diseño del estudio para permitir la recopilación y revisión de datos del primer grupo de individuos inscritos en PrProfile antes de permitir que individuos adicionales entraran en el ensayo clínico. La recopilación y revisión de datos requerida se ha completado y el reclutamiento global se ha reanudado.

También nos complace informarles de que todas las ubicaciones planificadas para el ensayo clínico de PrProfile están ahora activas, incluyendo varios sitios adicionales de ensayos clínicos que no formaron parte de la etapa inicial de inscripción.

Información adicional sobre el ensayo, así como una lista de las ubicaciones de reclutamiento para el ensayo clínico, está disponible en [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). Las personas interesadas en participar en PrProfile deben hablar con su médico. También pueden llamar al +1-844-221-3587 o enviar un correo electrónico a PrionDisease@clinicaltrialmedia.com para obtener información adicional sobre las ubicaciones de los ensayos clínicos. Las preguntas o inquietudes sobre salud, tratamientos o medicamentos deben dirigirse a su equipo de atención médica.

Expresamos nuestra más profunda gratitud a las personas con enfermedad priónica y sus cuidadores que forman parte del ensayo clínico PrProfile. Su valentía y compromiso para avanzar en la investigación médica es verdaderamente inspirador.

Reconocemos la necesidad urgente de avanzar en los tratamientos y seguimos dedicados a completar la inscripción lo más rápidamente posible. Ionis proporcionará actualizaciones a la comunidad de enfermedades priónicas según sea apropiado en el futuro.

Atentamente,

El Equipo de Ionis ION717



A continuación, se presenta información adicional que puede resultarle útil:

¿Por qué se produjo la pausa en el reclutamiento?

Cuando iniciamos este ensayo clínico, anticipamos que el reclutamiento sería lento, lo que nos daría más tiempo para completar la recopilación y revisión de datos requerida sin pausar la inscripción. Nuestras suposiciones fueron incorrectas; el reclutamiento fue rápido y, posteriormente, se pausó la inscripción. La pausa fue requerida según el protocolo del estudio y no debido a ningún dato recopilado en el estudio o por solicitud regulatoria.

¿Cuánto tiempo llevará completar la inscripción en PrProfile?

Aunque Ionis anticipa que la inscripción continuará a un ritmo rápido, muchos factores pueden afectar cuánto tiempo puede llevar completar la inscripción. Por ejemplo, la enfermedad priónica es un trastorno raro y solo aquellos en sus primeras etapas son elegibles para el ensayo. Estamos trabajando estrechamente con los investigadores del sitio para completar la inscripción lo más rápido posible y utilizaremos ClinicalTrials.gov para comunicar actualizaciones sobre el estado del estudio y las fechas de finalización anticipadas.

Es importante tener en cuenta que, aunque la inscripción puede completarse rápidamente, el ensayo en sí llevará tiempo para completarse. La Fecha de Finalización Primaria para PrProfile está actualmente proyectada para marzo de 2025. Esta es la fecha en la que se espera que el último participante inscrito en PrProfile tenga su evaluación final según el protocolo para la medida de resultado primaria en el estudio, que es una evaluación de seguridad. Esa fecha está sujeta a cambios. Ionis actualizará esta fecha en ClinicalTrials.gov según sea apropiado en el futuro.

¿Dónde pueden ir las personas interesadas en participar en PrProfile para obtener más información?

Las personas interesadas en participar en PrProfile deben hablar con su médico, quien conoce su historial médico y puede ayudar a determinar si PrProfile es una opción apropiada. Los detalles sobre el ensayo clínico, incluyendo una lista completa de las ubicaciones de reclutamiento activas, están disponibles en ClinicalTrials.gov. Las personas también pueden llamar al +1-844-221-3587 o enviar un correo electrónico a PrionDisease@clinicaltrialmedia.com para obtener más información sobre los sitios de reclutamiento.

¿Por qué clinicaltrials.gov todavía dice que el reclutamiento está en pausa?

A partir de hoy, el ensayo está reclutando activamente de nuevo. Ionis anticipa que la entrada del ensayo en ClinicalTrials.gov se actualizará pronto.



¿Revisó Ionis algún dato durante esta pausa de reclutamiento?

La recopilación y revisión de datos requerida durante la pausa de reclutamiento se utilizó para informar los próximos pasos apropiados con respecto a exponer a personas adicionales al medicamento en investigación que se está probando en este estudio, ION717. Esta revisión de datos no está diseñada para proporcionar ninguna conclusión sobre la seguridad o eficacia de ION717. Las revisiones de datos de esta naturaleza son comunes en ensayos clínicos en etapas tempranas como PrProfile.

¿Hay alguna forma de recibir ION717 fuera del ensayo clínico, como para personas no elegibles para este ensayo clínico?

La evaluación de la seguridad y eficacia de ION717 en ensayos clínicos es esencial para establecer si ION717 puede ayudar a las personas diagnosticadas con enfermedad priónica sintomática. Por esta razón, ION717 no está disponible fuera de este ensayo clínico. Estamos trabajando diligentemente para realizar los ensayos clínicos necesarios para evaluar ION717 en individuos con enfermedad priónica sintomática. Para obtener información adicional sobre la política de acceso expandido de Ionis, que también incluye el Derecho a Probar y el Uso Compasivo, haga clic [aquí](#).

Para obtener más información sobre Ionis, visite www.ionis.com o envíe un correo electrónico a padvocacy@ionis.com.

Referencias:

1. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06153966> (Accedido el 15 de agosto de 2024)
2. <https://clinicaltrials.gov/study-basics/glossary> (Accedido el 15 de agosto de 2024)