

October 16, 2024

Acadia Pharmaceuticals annonce l'approbation de DAYBUE™ (trofinétide) par Santé Canada pour le traitement du syndrome de Rett

-- DAYBUE est le premier et le seul traitement approuvé au Canada pour le traitement du syndrome de Rett, un trouble neurodéveloppemental rare

SAN DIEGO--(BUSINESS WIRE)-- Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: ACAD) a annoncé aujourd'hui que Santé Canada a accordé une autorisation de mise en marché pour DAYBUE™ (trofinétide) pour le traitement du syndrome de Rett chez les patients adultes et pédiatriques de deux ans et plus pesant au moins 9 kg, dans le cadre du processus d'examen prioritaire. L'autorisation de l'avis de conformité de DAYBUE en fait le premier et le seul médicament approuvé au Canada pour le traitement du syndrome de Rett.

Le syndrome de Rett est un trouble neurodéveloppemental rare et complexe qui touche principalement les femmes, qui présente une régression significative après un développement apparemment normal au cours des deux premières années de vie.^{1,2} Au Canada, on estime qu'entre 600 et 900 patients sont touchés par ce syndrome.³ Les symptômes peuvent comprendre la perte des compétences de communication et de l'utilisation volontaire des mains, des troubles de la démarche, ainsi que des mouvements stéréotypés des mains, comme par exemple se tordre les mains, applaudir et se frotter les mains.⁴ La plupart des patients atteints du syndrome de Rett vivront jusqu'à l'âge adulte et auront besoin de soins en permanence.^{1,5}

« L'autorisation de DAYBUE par Santé Canada est une étape importante pour la communauté du syndrome de Rett au Canada et un autre pas vers l'engagement d'Acadia visant à améliorer l'accès à ce traitement pour les patients et leurs familles », a déclaré Catherine Owen Adams, chef de la direction d'Acadia. « Nous avons hâte d'apporter DAYBUE aux patients Canadien avec le syndrome de Rett ».

« Le syndrome de Rett est un trouble neurodébilitant et complexe qui se manifeste différemment d'un patient à l'autre et peut entraîner toutes sortes de symptômes tout au long de la vie », explique Anita Datta, M.D., FRCPC, neurologue et épiléptologue pédiatrique, co-directrice du programme Rett au BC Children's Hospital et professeure agrégée de clinique à la Faculté de médecine de l'UBC. « Jusqu'à présent, les options thérapeutiques visaient surtout à prendre en charge les symptômes, car il n'existait aucun traitement spécifique pour le syndrome de Rett ».

Le dépôt de dossier auprès de Santé Canada a été appuyé par des résultats positifs de l'étude pivot de phase 3 LAVENDER™ visant à évaluer l'efficacité et l'innocuité du trofinétide par rapport au placebo chez 187 filles et jeunes femmes âgées de 5 à 20 ans et atteintes du syndrome de Rett. Les critères d'évaluation co-primaires étaient la variation par rapport aux valeurs initiales du score total au questionnaire sur le comportement associé au syndrome de Rett (Rett Syndrome Behaviour Questionnaire, RSBQ), une évaluation de l'aidant, et du score de l'échelle de l'impression clinique globale de l'amélioration (Clinical Global Impression–Improvement, CGI-I) à la semaine 12; les deux étaient statistiquement significatifs. Le questionnaire RSBQ est une échelle d'évaluation de 45 éléments remplie par l'aidant, qui évalue un éventail de symptômes du syndrome de Rett (respiration, mouvements de la main ou stéréotypies, comportements répétitifs, comportements nocturnes, vocalisations, expressions faciales, regard et humeur). Le critère d'évaluation secondaire consistant à mesurer la variation entre le début de l'étude (référence) et la semaine 12 dans la Liste de contrôle du Profil de développement de la communication et du comportement symbolique pour nourrissons et enfants en bas âge - Score composite social (Symbolic Behavior Scales Development Profile™ Infant-Toddler Checklist – Social Composite Score, CSBS-DP-IT) était également significatif sur le plan statistique lorsque comparé au placebo.⁶

« Le syndrome de Rett a non seulement des répercussions importantes sur les personnes atteintes de ce trouble, mais aussi sur leurs familles, leurs amis et leurs proches » a déclaré Sabrina Millson, présidente de l'Association du syndrome de Rett de l'Ontario (Ontario Rett Syndrome Association, O.R.S.A.). « La nouvelle d'aujourd'hui constitue une étape historique pour la communauté canadienne du syndrome de Rett, qui attendait avec impatience l'approbation d'un traitement. Maintenant que ce traitement a été approuvé, nous espérons qu'il sera accessible par l'intermédiaire de régimes privés et publics d'assurance médicaments le plus rapidement possible pour tous ceux qui pourraient en bénéficier ».

Au Canada, DAYBUE est indiqué pour le traitement du syndrome de Rett chez les adultes et les enfants de 2 ans et plus pesant au moins 9 kilos.⁷

Pour obtenir davantage de renseignements, consultez notre site Web au Canada à l'adresse CA.Acadia.com et suivez-nous sur [LinkedIn](#) et [X](#).

À propos du syndrome de Rett

Le syndrome de Rett est un trouble neurodéveloppemental rare et complexe à quatre stades. Il touche environ 1 femme sur 10 000 à 15 000 à la naissance, à travers le monde.^{1,2,8} Au Canada, la prévalence du syndrome de Rett est estimée entre 600 et 900 patients.³ Les enfants atteints du syndrome de Rett présentent une période de régression du développement entre l'âge de 18 à 30 mois, qui est généralement suivie d'une période de plateau qui dure des années à des décennies.² Le syndrome de Rett est diagnostiqué par évaluation clinique, généralement vers l'âge de trois ans.^{4,9} Le syndrome de Rett est un trouble complexe et multisystémique qui cause une déficience profonde de la fonction du système nerveux central (SNC), incluant une perte des compétences de communication et de l'utilisation volontaire des mains, des troubles de la démarche, ainsi que des mouvements stéréotypés des mains, comme par exemple se tordre/serrer les mains, applaudir/frapper des mains, porter des objets à la bouche et des automatismes en se lavant/frottant les mains.^{1,4} Il est provoqué par des mutations d'un gène appelé MECP2 sur le chromosome X.¹⁰

À propos de DAYBUE™ (trofinétide)

Le trofinétide est un analogue synthétique du tripeptide N-terminal du facteur de croissance analogue à l'insuline. Le mécanisme par lequel le trofinétide exerce des effets thérapeutiques chez les patients atteints du syndrome de Rett est inconnu.¹¹

Pour obtenir de plus amples renseignements, veuillez consulter la monographie de DAYBUE pour le Canada qui est électroniquement disponible [ici](#).

À propos d'Acadia Pharmaceuticals Inc.

Acadia fait progresser les percées en neuroscience pour améliorer la vie. Depuis notre création, nous travaillons à l'avant-garde des soins de santé pour offrir des solutions essentielles aux personnes qui en ont le plus besoin. Nous avons mis au point et commercialisé le premier et le seul médicament approuvé par la FDA pour traiter les hallucinations et les délires associés à la psychose de la maladie de Parkinson, ainsi que le premier et le seul médicament aux États-Unis et au Canada approuvé pour le traitement du syndrome de Rett. Nos efforts de développement au stade clinique se concentrent sur le syndrome de Prader-Willi, sur les effets psychologiques de la maladie d'Alzheimer et sur de nombreux autres programmes ciblant les symptômes neuropsychiatriques des troubles du système nerveux central. Pour obtenir de plus amples renseignements, consultez notre site [Acadia.com](https://www.acadia.com) et suivez-nous sur [LinkedIn](#) et [X](#).

Déclarations prospectives

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens du Private Securities Litigation Reform Act de 1995 des États-Unis. Les déclarations prospectives comprennent toutes les déclarations autres que celles concernant des faits s'étant déjà déroulés. Vous pouvez les identifier par des termes tels que « a l'intention de », « peut », « va », « doit », « pourrait », « devrait », « s'attend à », « prévoit », « anticipe », « croit », « estime », « projette », « prédit », « potentiel », « espère » et d'autres expressions similaires (y compris sous forme négative). Ces formulations permettent d'identifier les déclarations prospectives. Les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse comprennent, sans toutefois s'y limiter, les déclarations sur : (i) le profil d'innocuité et d'efficacité du trofinétide pour les patients atteints du syndrome de Rett, (ii) son acceptation sur le marché canadien, dont l'augmentation de l'accessibilité et l'importance du trofinétide pour le traitement du syndrome de Rett pour les patients atteints du syndrome de Rett ou leurs familles, ainsi que (iii) nos estimations concernant la prévalence des patients atteints du syndrome de Rett au Canada et dans le monde. Les déclarations prospectives sont sujettes à des risques, incertitudes, hypothèses et autres facteurs connus et inconnus qui pourraient faire en sorte que nos résultats, performances ou réalisations réels diffèrent sensiblement et négativement de ceux prévus ou sous-entendus par nos déclarations prospectives. De tels risques, incertitudes, hypothèses, ainsi que d'autres facteurs comprennent, quoique sans s'y limiter : notre dépendance vis-à-vis de la commercialisation de DAYBUE au Canada et de la réussite de la commercialisation continue de DAYBUE aux États-Unis; une fois le trofinétide approuvé, notre capacité à obtenir son approbation réglementaire dans des juridictions à l'extérieur des États-Unis et du Canada; notre capacité à protéger et à améliorer notre propriété intellectuelle, les risques liés à l'accessibilité du trofinétide pour les patients atteints du syndrome de Rett par le biais de régimes privés et publics d'assurance médicaments, et notre capacité à continuer à respecter les lois et règlements applicables. Compte tenu des risques et des incertitudes, vous ne devez pas vous fier indûment à ces déclarations prospectives. Pour une discussion sur ces risques, incertitudes, hypothèses et autres facteurs qui pourraient faire en sorte que nos résultats, nos performances ou nos réalisations réels diffèrent, veuillez consulter notre rapport trimestriel sur le formulaire 10-Q pour le trimestre qui s'est achevé le 30 juin 2024, déposé auprès de la Securities and Exchange Commission, ainsi que nos soumissions subséquentes auprès de la Securities and Exchange Commission. Les déclarations prospectives contenues dans le présent document sont formulées à la date des présentes et nous n'assumons aucune obligation de les mettre à jour après cette date, sauf si la loi l'exige.

Références

- ¹ Fu et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:1-14
- ² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.
- ³ Acadia Pharmaceuticals Inc. Data on File. Canada prevalence of Rett syndrome. September 2024.
- ⁴ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010;68(6):944-950
- ⁵ Daniel C, Tarquinio DO, Hou W, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5): 402-411.
- ⁶ Neul JL, Percy AK, Benke TA et al. Trofinetide for the treatment of Rett syndrome: a randomized phase 3 study. *Nature Medicine*. 2023; 29: 1468-1475
- ⁷ DAYBUE Canadian Product Monograph, [October] 2024
- ⁸ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J of Med Econ*. 2023; 26(1):1570-1580
- ⁹ Tarquinio DC, Hou W, Neul JL, et al. Age of Diagnosis in Rett Syndrome: Patterns of Recognition Among Diagnosticians and Risk Factors for Late Diagnosis. *Pediatric Neurology*. 2015;52:585-591.
- ¹⁰ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.
- ¹¹ Acadia Pharmaceuticals Inc., Data on file.

Contacts

Personne-ressource pour les investisseurs :

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Al Kildani

(858) 261-2872

ir@acadia-pharm.com

Personne-ressource pour les médias :

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Deb Kazenelson

(818) 395-3043
media@acadia-pharm.com

Source: Acadia Pharmaceuticals Inc.

Powered by
 businesswire