

# ProQR annonce des premiers résultats pour l'essai de Phase 2/3 *Illuminate* de sepofarsen chez les personnes atteintes d'ACL10

Février 2022

ProQR a publié les premiers résultats pour l'essai de Phase 2/3 *Illuminate* de sepofarsen chez les patients souffrant d'amaurose congénitale de Leber 10 (ACL10) due à une mutation au niveau du gène *CEP290*.

Dans les premiers résultats, *Illuminate* n'a pas atteint le critère principal d'efficacité, évaluant la meilleure acuité visuelle corrigée (MAVC), déterminée par l'échelle d'acuité visuelle, ni les critères d'efficacité secondaires. Aucun bénéfice n'a été observé dans le groupe sepofarsen par rapport au groupe contrôle (appelé sham).

## ***Illuminate***

*Illuminate* est le nom de l'essai clinique évaluant l'efficacité et la tolérance de la thérapie ARN sepofarsen en développement pour les personnes atteintes d'ACL10 due à une mutation au niveau du gène *CEP290*.

L'essai clinique a été lancé en avril 2019.

"Compte tenu des résultats observés dans les précédentes études de sepofarsen, les résultats de l'essai clinique *Illuminate* sont inattendus et décevants, tout particulièrement pour les personnes atteintes d'ACL10" rapporte Daniel A. de Boer Fondateur et PDG de ProQR Therapeutics. "ProQR a été fondée dans le but de développer des

thérapies ARN pour les personnes ayant des besoins médicaux non satisfaits, et nous continuerons à faire progresser notre solide portefeuille de thérapies pour les maladies oculaires génétiques. Nous sommes profondément reconnaissants de tous les participants, leur entourage et les investigateurs qui ont participé à l'étude *Illuminate*. "

"ACL10 est une maladie rétinienne dévastatrice, très difficile à traiter, entraînant la cécité, pour laquelle il n'existe aucun traitement", rapporte Dr. Bart Leroy, Chef du service d'ophtalmologie de l'hôpital universitaire de Ghent, Professeur d'ophtalmologie et de génétique ophtalmique à l'université de Ghent, Belgique et Docteur en génétique ophtalmique et dégénérescences rétiniennes à l'hôpital pour les enfants à Philadelphie, USA. "Nous continuerons à travailler avec ProQR pour comprendre les données de l'étude et pour faire progresser les thérapies pour les maladies rétiniennes héréditaires."

« Ce n'est pas le résultat que nous espérions et nous partageons la déception que beaucoup ressentent actuellement au sein de la communauté » écrit Benjamin R. Yerxa, PDG à la Fondation contre la cécité. "Nous continuons à travailler aux côtés de ProQR afin de mieux comprendre les analyses en cours et pour faire progresser les thérapies ARN pour potentiellement aider les enfants, les adultes et les familles touchés par des maladies oculaires génétiques rares."

## **Comment l'étude a-t-elle été conduite ?**

*Illuminate*, est un essai randomisé, incluant un groupe contrôle, et 36 participants âgés de huit ans ou plus atteints d'amaurose congénitale de Leber 10 due à la mutation c.2991+1655A>G (p.Cys998X) au niveau du gène *CEP290*.

L'étude a été conduite dans 14 sites dans 9 pays différents.

Les participants ont été répartis équitablement dans trois groupes :

- La dose d'enregistrement cible (160 µg/80 µg dose de charge/dose de maintenance),
- Une dose plus faible (80 µg/40 µg dose de charge/dose de maintenance),
- Un groupe contrôle (ou procédure sham).

Sepofarsen a été administré par injection intravitréenne (IVT) et la procédure sham a été simulée, imitant une injection sans thérapie ni injection.

Les essais cliniques sont utilisés par les chercheurs pour déterminer si de nouvelles thérapies en développement sont efficaces et sûrs.

L'essai Illuminate visait à déterminer si le sepofarsen était efficace pour améliorer la vision, sûr et bien toléré.

Nous allons maintenant prendre un peu de temps pour analyser les données plus en détail.

## **ProQR remercie la communauté**

L'équipe ProQR tient à remercier les participants à l'étude, leur entourage, les investigateurs et leur personnel pour le soutien apporté au développement de cet essai. ProQR reste déterminé à avoir un impact significatif et positif sur la vie des personnes atteintes de maladies oculaires génétiques.

## **Pour plus d'information**

Pour les nouvelles trimestrielles et les futures possibilités de participation aux études, inscrivez-vous à la newsletter [ProQR Eye Connect](#) ou suivez-nous sur les réseaux sociaux.

Si vous avez des questions, veuillez contacter ProQR à [patientinfo@proqr.com](mailto:patientinfo@proqr.com).