

Marzo 2026

Cara Comunità delle Malattie da Prioni,

Vi scriviamo per fornirvi un aggiornamento su **PrProfile**, il nostro studio clinico di Fase 1/2a su **ION717** condotto in persone con malattie da prioni. Sulla base dell'analisi preliminare dei dati dello studio clinico PrProfile (NCT06153966) riguardante il nostro farmaco sperimentale ION717, Ionis amplierà lo studio in due modi:

1. Verrà testato un **ulteriore regime di dosaggio (Regime 3)** in circa 20 persone supplementari con malattia da prioni sintomatica. A differenza di coloro che sono stati inclusi precedentemente in PrProfile, i partecipanti al Regime 3 non riceveranno placebo, ma riceveranno esclusivamente ION717 durante lo studio.
2. Il periodo di **estensione in aperto (open-label extension)** sarà prolungato da 70 a 142 settimane per consentire una valutazione continua di ION717 per un arco di tempo maggiore.

La revisione dei dati provenienti da studi clinici in fase iniziale, come PrProfile, è una procedura consueta e serve a definire i passi successivi più appropriati. La decisione di ampliare PrProfile si basa su una revisione dei dati ad interim che mostrano un **profilo di sicurezza e tollerabilità incoraggiante** e indicano che ION717 sta interagendo correttamente con il suo bersaglio biologico (ovvero la proteina prionica).

Ionis ha recentemente aggiornato le informazioni sullo studio disponibili su *clinicaltrials.gov* per riflettere questi cambiamenti. Non sono state apportate altre modifiche al disegno dello studio (es. criteri di idoneità, misure di esito). Poiché lo studio si sta espandendo per includere ulteriori partecipanti, Ionis ha aggiornato la data stimata per l'endpoint primario dello studio a circa **febbraio 2027**. Questa data è soggetta a variazioni, in quanto si basa sulla nostra stima iniziale per il completamento del reclutamento.

Non verranno aggiunti nuovi centri clinici ed è possibile che non tutti gli attuali centri di PrProfile partecipino al reclutamento per il Regime 3. Ionis aggiornerà lo stato dei singoli centri clinici su *clinicaltrials.gov* man mano che verranno attivati per arruolare partecipanti nell'ambito di questa espansione.

Ionis esprime la sua sincera gratitudine a tutte le persone affette da malattie da prioni, ai loro caregiver e alle famiglie che hanno partecipato e continuano a partecipare allo studio PrProfile. Ionis non vede l'ora di collaborare con i ricercatori dello studio clinico e il loro staff per identificare e arruolare ulteriori partecipanti nel braccio Regime 3. Forniremo ulteriori aggiornamenti in futuro.

Cordiali saluti,

Il team Ionis ION717

Ulteriori informazioni utili

Dove può trovare maggiori informazioni chi è interessato a partecipare a PrProfile? Il medico curante deve essere la fonte primaria di informazioni su argomenti relativi alla salute, inclusi gli studi clinici. È inoltre possibile trovare ulteriori informazioni su PrProfile online qui:

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06153966>.

Qual è l'impatto sulle persone attualmente arruolate in PrProfile? Il periodo di trattamento in estensione in aperto dello studio è stato prolungato per consentire una valutazione continua di ION717 per un periodo di tempo più lungo. I partecipanti allo studio devono rivolgere le proprie domande al medico dello studio e allo staff del centro clinico.

Cosa significa questo per la sicurezza e l'efficacia di ION717?

I dati preliminari mostrano un profilo di sicurezza e tollerabilità incoraggiante che supporta l'espansione di PrProfile per testare un ulteriore regime di dosaggio. Questi dati preliminari non sono tuttavia sufficienti per stabilire la sicurezza, la tollerabilità o l'efficacia di ION717 come trattamento per la malattia da prioni.

Quali dosi di ION717 vengono studiate in PrProfile?

Ionis non ha reso note le dosi specifiche di ION717 studiate in PrProfile.

Cosa ha presentato Ionis alla conferenza Prion 2025?

Ionis ha recentemente presentato un aggiornamento sullo studio clinico di Fase 1/2a di ION717 (PrProfile) alla conferenza Prion 2025 in Brasile. La presentazione includeva informazioni sulla randomizzazione dei partecipanti nel periodo di trattamento in doppio cieco (ION717 seguito da placebo o placebo seguito da ION717), l'elenco delle valutazioni e dei test condotti, la conferma che il database dello studio era stato "congelato" (locked) per supportare un'analisi iniziale e l'intenzione di condividere ulteriori informazioni nel 2026.

Quando Ionis condividerà i dati di PrProfile con la comunità delle malattie da prioni?

Comprendiamo il grande interesse della comunità nel vedere i dati preliminari dello studio. La revisione di tali dati ha supportato l'espansione dello studio per esplorare un ulteriore regime di dosaggio di ION717. Ionis condividerà i dati di PrProfile in occasione di future conferenze mediche e scientifiche. Prevediamo che ciò avverrà dopo che lo studio avrà raggiunto la nuova data di completamento primario, attualmente prevista per febbraio 2027 circa.

Il CJD Support Group Network Australia e la CJD International Support Alliance forniscono risorse e supporto alla comunità colpita da malattie da prioni. Per ulteriori informazioni su Ionis, visitare www.ionis.com o inviare un'e-mail a padvocacy@ionis.com.