

Acadia Pharmaceuticals annonce que la présentation de drogue nouvelle pour la trofinetide dans le traitement du syndrome de Rett a été acceptée pour dépôt et évaluation prioritaire par Santé Canada

SAN DIEGO--([BUSINESS WIRE](#))-- Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq:ACAD) a annoncé aujourd'hui que Santé Canada a accepté sa présentation de drogue nouvelle (PDN) pour la trofinetide dans le traitement du syndrome de Rett, un trouble rare du neurodéveloppement. Santé Canada a accordé à la présentation d'Acadia le statut d'évaluation prioritaire.

« Le syndrome de Rett est un trouble du neurodéveloppement complexe et profondément débilisant qui se manifeste différemment d'un(e) patient(e) à l'autre et peut entraîner une série de symptômes imprévisibles », explique Pamela di Cenzo, vice-présidente, directrice générale, Maladies rares, Canada, chez Acadia. « Si l'autorisation de mise sur le marché est accordée, la trofinetide sera le premier médicament approuvé pour traiter le syndrome de Rett au Canada ».

Santé Canada accorde un statut d'évaluation prioritaire aux présentations de médicaments destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies ou d'affections graves, mettant la vie en danger ou sévèrement débilitantes, pour lesquelles il existe des preuves substantielles d'efficacité clinique démontrant que le médicament répond à un besoin médical non satisfait ou que le profil bienfaits/risques est sensiblement meilleur que celui des médicaments existants.

« L'O.R.S.A. se réjouit que Santé Canada ait accordé une évaluation prioritaire à ce traitement prometteur qui, s'il est approuvé, constituera une étape importante pour répondre aux besoins médicaux non satisfaits des Canadiens vivant avec le syndrome de Rett », déclare Sabrina Millson, présidente de l'Ontario Rett Syndrome Association (O.R.S.A.). « Notre communauté de patients, de soignants et de sympathisants est enthousiaste à l'idée de disposer d'une option thérapeutique pour le syndrome de Rett. »

Le dépôt auprès de Santé Canada est étayé par les résultats de l'étude pivot positive de phase 3 LAVENDER™ évaluant l'efficacité et l'innocuité de la trofinetide par rapport à un placebo chez 187 filles et jeunes femmes atteintes du syndrome de Rett. Les critères d'évaluation coprimaires sont le changement par rapport à la ligne de base du score total du Rett Syndrome Behaviour Questionnaire (RSBQ), une évaluation du soignant, et le score de l'échelle Clinical Global Impression-Improvement (CGI-I), selon la perspective vue du clinicien, à la semaine 12, tous deux étant statistiquement significatifs. Le critère d'évaluation secondaire principal, qui évaluait l'amélioration de la communication, s'est également révélé statistiquement significatif. La trofinetide a été approuvée pour le traitement du syndrome de Rett chez les patients adultes et pédiatriques âgés de deux ans et plus aux États-Unis, mais n'est pas actuellement autorisée à la vente au Canada pour le traitement du syndrome de Rett.

À propos du syndrome de Rett

Le syndrome de Rett est un trouble du neurodéveloppement rare d'origine génétique qui survient principalement chez les femmes après un développement presque normal au cours des deux premières années de la vie.^{1,2} Il est causé par des mutations sur le chromosome X d'un gène appelé MECP2.³ Le syndrome de Rett est un trouble complexe et multisystémique qui entraîne une altération profonde des fonctions du système nerveux central (SNC), y compris la perte des capacités de communication, l'utilisation délibérée des mains, des anomalies de la démarche et des mouvements stéréotypés des mains, tels que des automatismes de torsion, d'applaudissement, de frappe, de mise en bouche et de lavage ou de frottement.²

Le syndrome de Rett touche dans le monde entier environ une naissance féminine sur 10000 à 15 000.⁴ Au Canada, la prévalence du syndrome de Rett est estimée entre 600 et 900 patientes.⁵ Les enfants atteints du syndrome de Rett connaissent une période de régression développementale entre 18 et 30 mois, qui est généralement suivie d'une période de plateau qui dure des années, voire des décennies.¹⁻³ Le syndrome de Rett est diagnostiqué sur la base d'une évaluation clinique, généralement vers l'âge de trois ans.^{2,6}

À propos d'Acadia Pharmaceuticals Inc.

Acadia réalise des percées dans le domaine des neurosciences afin d'améliorer la vie. Depuis 30 ans, nous travaillons à l'avant-garde des soins de santé pour apporter des solutions vitales aux personnes qui en ont le plus besoin. Nous avons élaboré et commercialisé aux États-Unis le premier et le seul médicament autorisé par la FDA pour traiter les hallucinations et les délires associés à la psychose de la maladie de Parkinson et le premier et le seul médicament autorisé par la FDA pour le traitement du syndrome de Rett. Nos efforts de développement au stade clinique se concentrent sur le syndrome de Prader-Willi, la psychose liée à la maladie d'Alzheimer et de nombreux autres programmes ciblant les symptômes neuropsychiatriques associés aux troubles du système nerveux central. Pour plus d'informations, rendez-vous sur CA.Acadia.com/FR et suivez-nous sur [LinkedIn](#) et [Twitter](#).

Énoncés prospectifs

Le présent communiqué de presse contient des énoncés prospectifs au sens du Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Les énoncés prospectifs comprennent tous les énoncés autres que les énoncés de faits historiques et peuvent être identifiés par des termes tels que « est destiné », « peut », « sera », « devrait », « peut » « pourrait », « s'attend à », « planifie », « anticipe », « croit », « estime », « projette », « prédit », « potentiel » et des expressions similaires (y compris la forme négative de celles-ci) destinées à identifier les énoncés prospectifs. Les énoncés prospectifs contenus dans le présent communiqué de presse comprennent, sans s'y limiter, des déclarations concernant : i) l'approbation potentielle de la trofinetide en tant que première option au Canada pour le traitement du syndrome de Rett, ii) l'efficacité et le profil d'innocuité de la trofinetide pour les patient(e)s atteint(e)s du syndrome de Rett, iii) l'approbation de la commercialisation au Canada, notamment l'importance de la trofinetide pour le traitement du syndrome de Rett, si elle est approuvée, pour les patient(e)s atteint(e)s du syndrome de Rett ou les familles de patient(e)s atteint(e)s du syndrome de Rett et (iv) la capacité de la trofinetide à répondre aux besoins médicaux non satisfaits des Canadiens atteints du syndrome de Rett. Les énoncés prospectifs sont soumis à des risques connus et inconnus, à des incertitudes, à des hypothèses et à d'autres facteurs qui peuvent faire en sorte que nos résultats réels, nos performances ou nos réalisations diffèrent matériellement et négativement de ceux anticipés ou sous-entendus dans nos énoncés prospectifs. Ces risques, incertitudes, hypothèses et autres facteurs comprennent, sans s'y limiter : la capacité de la trofinetide à fournir des résultats efficaces et d'innocuité aux patient(e)s, s'il est approuvé, notre dépendance à l'égard de la poursuite de la commercialisation réussie de DaybueTM aux États-Unis, où il est approuvé, notre capacité à obtenir l'approbation réglementaire de DaybueTM au Canada et dans d'autres juridictions en dehors des États-Unis, et notre capacité à protéger et à améliorer notre propriété intellectuelle; et notre capacité à continuer à rester en conformité avec les lois et règlements applicables. Compte tenu des risques et des incertitudes, vous ne devriez pas accorder une confiance excessive à ces énoncés prospectifs. Pour une description de ces risques et d'autres risques, incertitudes, hypothèses et autres facteurs susceptibles d'entraîner des différences dans nos résultats, performances ou réalisations réels, veuillez consulter notre rapport annuel sur le formulaire 10-K pour l'exercice clos le 31 décembre 2023, déposé auprès de la Securities and Exchange Commission le 28 février 2024, ainsi que nos documents ultérieurs déposés auprès de la Securities and Exchange Commission de temps à autre. Les énoncés prospectifs contenus dans le présent document sont faits à la date du présent document et nous ne nous engageons pas à 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 Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010;68(6):944-950.

³ 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.

⁴ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J of Med Econ*. 26(1), 1570–1580.

⁵ Acadia Pharmaceuticals Inc. Data on File. Canada prevalence of Rett syndrome. February 2024.

⁶ 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.

Contacts

Relations avec les médias :
Acadia Pharmaceuticals Inc.
Deb Kazenelson
(818) 395-3043
media@acadia-pharm.com

Relations avec les investisseurs :

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Al Kildani

(858) 261-2872

ir@acadia-pharm.com

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Jessica Tieszen

(858) 261-2950

ir@acadia-pharm.com

Source: Acadia Pharmaceuticals Inc.