

## **Information concernant notre programme clinique sur le tofersen :**

Chers membres de la communauté SLA,

Vous trouverez ci-dessous des informations actualisées sur le programme clinique de Biogen concernant le tofersen.

### **À propos du tofersen, traitement expérimental de Biogen pour la SLA-SOD1**

Le tofersen est une molécule expérimentale pour la sclérose latérale amyotrophique (SLA) à superoxyde dismutase 1 (SOD1). On pense qu'une mutation du gène SOD1 est la cause génétique de la maladie chez environ deux pour cent de tous les patients atteints de SLA.

La sécurité et l'efficacité du tofersen sont toujours étudiés dans le cadre d'une étude clinique de phase 3 contrôlée versus placebo. Cette étude en cours inclut des patients volontaires vivant avec la SLA-SOD1, et à l'heure actuelle, tous les participants inscrits sont en progression rapide. La réussite de cette étude est nécessaire – et le moyen le plus rapide et le plus sûr - de déposer des demandes d'autorisation de mise sur le marché à travers le monde et de permettre l'accès à cette molécule pour les patients atteints de SLA-SOD1 dans le monde entier. Dans cette étude, certains participants reçoivent du tofersen et d'autres participants reçoivent un placebo (essai clinique randomisé).

Nous avons conçu notre étude de phase 3 pour fournir les réponses scientifiques nécessaires au dépôt des demandes d'autorisation de mise sur le marché aussi rapidement que possible et pour exposer le moins de patients possible au placebo. Pour ces raisons, l'étude est de courte durée et ne comprend qu'un petit nombre de patients. Chaque patient participant à notre étude est essentiel pour confirmer la sécurité et l'efficacité du tofersen. L'établissement d'un profil d'efficacité et de sécurité favorable pour un nouveau médicament est primordial et est essentiel pour obtenir son approbation par les autorités de santé.

### **Accès au tofersen**

Depuis que notre étude de phase 3 sur le tofersen a terminé son recrutement fin 2020, nous avons entendu et écouté les voix de nombreux patients atteints de SLA-SOD1 et de leurs familles qui cherchent à avoir accès au tofersen avant la fin de l'étude, avant que la sécurité et l'efficacité du tofersen ne soient confirmées.

Répondre aux questions sur l'accès aux nouveaux médicaments en dehors des études cliniques n'est ni simple ni rapide. Parmi les impératifs éthiques de tout programme d'accès, il faut s'assurer que tous les patients bénéficient d'une égalité de traitement et de priorité, et de préserver l'intégrité des études en cours. Répondre à ces impératifs prend du temps et nécessite une réflexion approfondie.

Pour répondre à toutes ces questions de manière équitable et éthique, Biogen s'est engagé avec les régulateurs, les investigateurs cliniques, les éthiciens et les représentants des patients pour explorer toutes les voies éthiques potentielles pour fournir un accès au tofersen, en dehors de l'étude de phase 3 en cours.

Nous ne pensons pas qu'il soit juste de demander à certains participants de cette étude de continuer à recevoir un placebo alors que d'autres patients atteints de SLA-SOD1 ont accès au tofersen, mais nous pensons que cet accès pourrait être donné dès la fin de l'étude contrôlée par placebo. Cependant, jusqu'à ce que la sécurité et l'efficacité aient été établies, nous donnerons la priorité à un accès précoce à un sous-groupe de patients atteints de cette maladie rare et grave, dont l'évolution est la plus rapide, **sous réserve que les autorités de santé approuvent ce programme.**

### **Un programme d'accès au Tofersen en deux parties**

À partir de la mi-juillet 2021, après la transition des patients de cette étude actuellement sous placebo vers le traitement actif, et avant que la sécurité et l'efficacité du tofersen ne soient établies, l'accès à l'usage compassionnel **dès la demande du médecin** sera autorisé pour un sous-groupe de patients atteints de SLA-SOD1 dont la maladie progresse le plus rapidement, **sous réserve que les autorités de santé approuvent ce programme**. À l'automne 2021, si les résultats de l'étude de phase 3 indiquent que le tofersen est sûr et efficace, et si aucune autre étude n'est nécessaire, nous lancerons un programme d'accès précoce (EAP) pour l'ensemble des patients atteints de SLA-SOD1.

*Partie 1 : Accès individuel à l'usage compassionnel pour les patients dont la maladie progresse le plus rapidement*

Date de début prévue : mi-juillet 2021

- Dès que les participants à l'étude clinique de phase 3 qui reçoivent actuellement un placebo se verront administré le tofersen (fin de l'essai clinique randomisé), nous proposerons un accès individuel compassionnel **dès la demande du médecin, sous réserve que les autorités approuvent ce programme**, pour les patients dont la maladie progresse le plus rapidement.
- L'accès commencera avant que nous ayons terminé l'analyse des données de l'étude et donc avant que la sécurité et l'efficacité du médicament n'aient été confirmées.
- Les critères d'éligibilité à cet usage compassionnel ont été élaborés en consultation avec des experts indépendants et des bioéthiciens ; l'accès sera accordé aux patients atteints de SLA-SOD1 présentant une diminution de la pente de l'ALSFRS-R supérieure ou égale à 2 points par mois.
- La confirmation de l'éligibilité sera effectuée de manière anonyme par une organisation indépendante de Biogen.
- La participation à ce programme d'accès compassionnel individuel ne sera disponible que dans les pays où elle est autorisée par la réglementation locale et où nous pouvons garantir un accès futur.
- Les [demandes individuelle d'accès](#) doivent être soumises par le médecin traitant d'un patient.

*Partie 2 : Programme d'accès précoce pour l'ensemble des patients atteints de SLA-SOD1*

Date de début prévue : Automne 2021

- Si les données de l'étude de phase 3 sont positives et qu'aucune autre étude clinique contrôlée n'est nécessaire, nous ouvrirons immédiatement un programme d'accès anticipé pour les patients atteints de SLA-SOD1 dans les pays où cela est autorisé par la réglementation locale et où nous pouvons garantir un accès futur.
- Ce programme débutera avant la soumission des demandes d'autorisation de mise sur le marché.

**L'engagement de Biogen envers la communauté SLA**

Comme vous le savez, l'engagement de Biogen pour vaincre la SLA s'étend sur plusieurs décennies. Nous espérons que les résultats de cette étude seront positifs, mais nous savons d'expérience que des médicaments prometteurs peuvent échouer dans les études de phase 3.

Nous sommes plus que jamais déterminés à faire avancer la recherche sur la SLA et à travailler aux côtés de la communauté pour faire évoluer nos processus afin de répondre aux besoins des personnes touchées par la SLA.

Veuillez recevoir, Chers membres de la communauté SLA, l'expression de nos sentiments distingués, / Cordialement,

Biogen

2021/04-Biogen-109502