

## Nieuwsbericht

26 september 2023

### **Ionis - Olezarsen**

Ionis maakte vandaag bekend dat zijn kandidaat-geneesmiddel Olezarsen in een fase 3 klinische studie een statistisch significante verlaging van het triglyceridegehalte in het bloed heeft laten zien. Deze studie werd uitgevoerd bij patiënten met familiair chylomicronemie syndroom (FCS).

Een hoog triglyceridegehalte wordt bijvoorbeeld veroorzaakt door het eetpatroon (vet, suiker, alcohol) of diabetes. Het verhoogt het risico op cardiovasculaire aandoeningen zoals een hartaanval en beroerte. Als triglyceriden verhoogd zijn, zijn totaal cholesterol en LDL cholesterol dat meestal ook.

Het gebruik van Olezarsen bereikte niet alleen de primaire doelstelling: een statistisch significante verlaging van de triglycerideniveaus ten opzichte van placebo. Maar het resulteerde ook in een 100% vermindering van acute pancreatitis in vergelijking met placebo, een belangrijke secundaire doelstelling. Olezarsen is effectief, veilig en wordt goed verdragen.

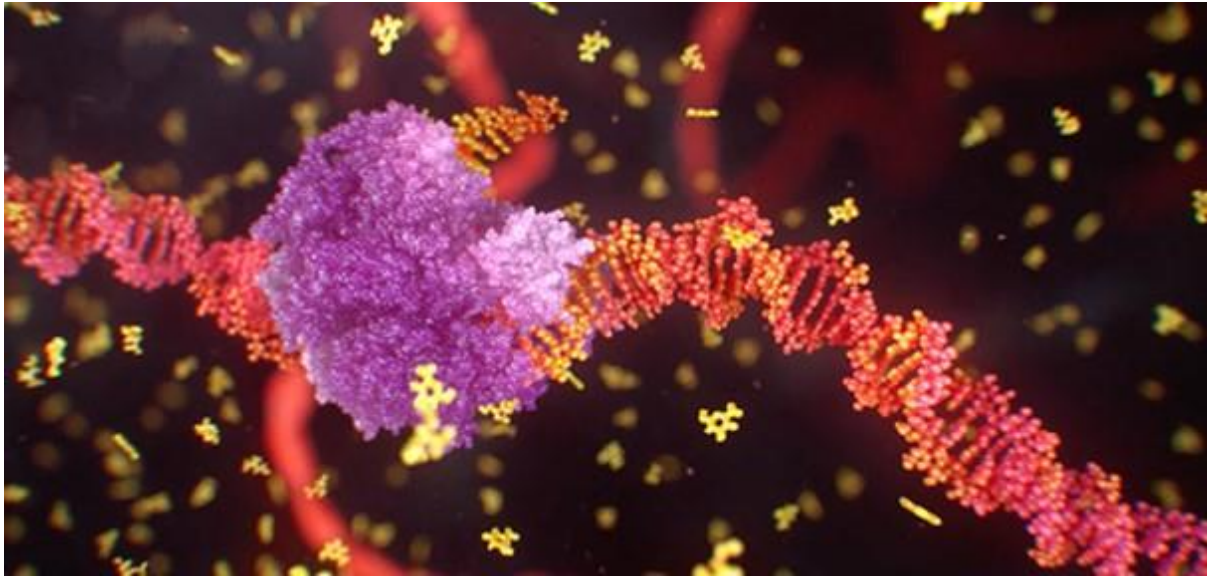
Ionis gaat het goedkeuringsproces en introductie van het geneesmiddel in gang zetten. Tot nu toe is er nog geen medicijn voor de behandeling van FCS goedgekeurd.

Ionis is onderdeel van zowel het Aescap Life Sciences fonds (7%) als het Aescap Genetics fonds (11%).

### **Verborgene potentiële waarde**

Hoewel FCS een zeldzame ziekte is en de waarde van het geneesmiddel in termen van omzet daarom beperkt is, maken de studieresultaten de weg vrij voor een veel groter marktpotentieel.

Door de reductie van triglyceride die Olezarsen genereert, kan het hoogstwaarschijnlijk ook worden gebruikt voor de behandeling van patiënten die lijden aan ernstige hypertriglyceridemie. Alleen al in de Westerse wereld hebben meer dan 5 miljoen mensen deze 'aandoening'. Fase 3-studies in deze grotere patiëntenpopulatie lopen en de resultaten hiervan worden in 2024 verwacht.



*Transcriptieproces van DNA naar RNA*

### **Waarom staat Ionis zo vaak in onze nieuwsbrieven?**

Het is u misschien opgevallen dat Ionis regelmatig in onze nieuwsbrieven voorkomt. De reden hiervoor is dat de RNA-geneesmiddelen van het bedrijf het potentieel hebben om veel ziekten te behandelen waarvoor andere therapeutische benaderingen ineffectief zijn gebleken of niet bestaan.

Ionis heeft 26 kandidaat-geneesmiddelen in ontwikkeling. Deze worden getest in klinische studies die regelmatig positieve resultaten opleveren en daarmee de toekomstige 'earning power' van het bedrijf vergroten.

Ionis heeft tot nu toe vier geneesmiddelen op de markt, die verkocht worden door Biogen, SOBI en PTC. In 2022 ontving Ionis \$ 303 miljoen aan royalties en \$ 284 miljoen aan mijlpaalbetalingen.

### **Goedkeuring volgend medicijn**

Uiterlijk 22 december verwacht Ionis dat zijn volgende geneesmiddel, Eplontersen, wordt goedgekeurd. We verwachten dat dit product een jaarlijks verkooppotentieel heeft van ongeveer een miljard euro. Het wordt het eerste geneesmiddel dat het bedrijf zelf in de VS op de markt gaat brengen, zij het in samenwerking met multinational AstraZeneca, dat ook verantwoordelijk is voor de verkoop buiten de VS. Olezarsen, zal volgens de planning door Ionis zelf op de markt worden gebracht. Dit betekent dat de onderneming daarmee 100%

van de omzet kan boeken in plaats van de circa 10-20% royalty's, plus mijlpaalbetalingen, die het ontvangt wanneer het producten uitlicenseert.

### **Over FCS en Olezarsen**

"Deze positieve resultaten van Olezarsen betekenen een belangrijke vooruitgang voor mensen met FCS die in constante angst leven voor onvoorspelbare en mogelijk fatale aanvallen van acute pancreatitis. Omdat er momenteel geen door de FDA goedgekeurde behandelingen zijn, leven mensen met FCS met slopende buikpijn en moeten ze een extreem restrictief dieet volgen dat bestaat uit minder dan 20 gram vet per dag," aldus Sam Tsimikas, M.D., senior vice president, global cardiovascular development bij Ionis.

In Q1 2023 heeft de FDA Olezarsen een 'Fast Track designation' toegekend voor de behandeling van FCS. Dat helpt bij het goedkeuringsproces en is waarschijnlijk ingegeven doordat er geen behandelingen beschikbaar zijn.