

Abril de 2026

Estimada comunidad del síndrome de Angelman: ,

Ionis se complace en informarles de que hemos puesto en marcha nuestros primeros centros para el ensayo clínico REVEAL (NCT: NCT06914609) en la Unión Europea (UE): el Klinikum der Ludwig-Maximilians-Universität München en Múnich (Alemania) y la Corporación Sanitaria Parc Tauli en el Hospital de Sabadell, en Sabadell (España).¹

Ionis se complace en inaugurar el primer centro de inscripción para el estudio REVEAL en la UE y agradece a la comunidad del síndrome de Angelman (SA) su continuo apoyo. Ionis está trabajando con las autoridades reguladoras y los investigadores para abrir centros de inscripción adicionales para el ensayo REVEAL en Alemania, Italia, Polonia y España. Estos centros se unirán a la red global de centros que ya están inscribiendo a pacientes en el ensayo REVEAL en Australia, Canadá, Israel, Japón, Singapur, Corea del Sur, el Reino Unido y los Estados Unidos. A medida que se activen nuevos centros en la UE y en otros lugares, se irán añadiendo a la página de información del ensayo en clinicaltrials.gov.^{1,2}

REVEAL es el ensayo clínico pivotal de fase III de Ionis con ION582, también conocido como obudanersen. ION582, un oligonucleótido antisentido (ASO), es un medicamento en fase de investigación diseñado para aumentar la producción de la proteína UBE3A en personas con síndrome de Angelman (SA). REVEAL está diseñado para evaluar la eficacia y la seguridad de ION582 en niños y adultos con SA. En el ensayo REVEAL se inscribirán aproximadamente 158 personas con síndrome de Angelman (AS) con mutación o delección positiva del gen UBE3A.¹

REVEAL es un estudio controlado y doble ciego. Los participantes serán asignados aleatoriamente al grupo de ION582 (80 mg) o al grupo de control durante el periodo controlado y doble ciego del estudio. En la UE, las personas asignadas al grupo de control se someterán a un procedimiento simulado de punción cutánea durante el periodo controlado y doble ciego. El periodo controlado y doble ciego tiene una duración aproximada de 60 semanas. Todos los participantes que completen el periodo de tratamiento controlado doble ciego podrán pasar a un periodo de extensión a largo plazo (LTE) de 25 meses, durante el cual todos los participantes recibirán ION582 (80 mg).^{1,2}

Ionis agradece a la comunidad de la UE afectada por el síndrome de Angelman su apoyo para impulsar nuestros esfuerzos por llevar REVEAL a la región. Además, queremos expresar nuestro más sincero agradecimiento a las personas con síndrome de Angelman y a sus familias de la UE que ya participan en nuestro estudio HALOS, lo cual ha contribuido a nuestra comprensión del potencial de ION582 como tratamiento para el síndrome de Angelman.³

Las personas que tengan dudas sobre la participación en un ensayo clínico, como el REVEAL, deben consultar con su médico. Ionis seguirá informando sobre el estado de su investigación sobre el ION582 como posible tratamiento para el síndrome de Angelman.

Atentamente, el equipo de Ionis ION582

En la siguiente página encontrará información adicional que puede resultarle útil

¿Dónde se puede obtener más información sobre REVEAL?

El médico de cada persona debe ser su principal fuente de información sobre temas relacionados con la salud, incluidos los ensayos clínicos. También puede encontrar más información sobre REVEAL en línea aquí: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06914609>.

¿Qué es el ION582?

El ION582 es un medicamento experimental basado en oligonucleótidos antisentido (ASO) diseñado por Ionis para aumentar la producción de la proteína UBE3A con el fin de tratar potencialmente el síndrome de Angelman. Un ASO es un tipo de medicamento diseñado para actuar sobre el ARN del organismo con el objetivo de tratar un trastorno o una enfermedad genética. Cada ASO es diferente y actúa sobre el ARN de una manera específica. ION582 se está evaluando en ensayos clínicos internacionales con niños y adultos con síndrome de Angelman denominados HALOS (fase II) y REVEAL (fase III).^{3,4}

¿Por qué el grupo de control en la UE es diferente al de otras regiones en las que se está llevando a cabo el ensayo REVEAL?

Todos los datos recopilados en el ensayo REVEAL serán fundamentales para comprender la seguridad y la eficacia potenciales de ION582 como tratamiento para el síndrome de Angelman. El uso de procedimientos diferentes en el grupo de control según la región es habitual en los ensayos clínicos. Ionis y las autoridades reguladoras de la UE acordaron el uso de un procedimiento de «prueba cutánea simulada» en el grupo de control de REVEAL en la UE, mientras que Ionis acordó la administración de un placebo en todas las demás regiones donde se lleva a cabo el ensayo. Ionis se ha puesto de acuerdo con las autoridades reguladoras, incluidas la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), para evaluar los datos de ambos enfoques del grupo de control conjuntamente como un único conjunto de datos con el fin de determinar la seguridad y la eficacia de ION582.

¿En qué consiste un procedimiento de «pinchazo simulado»?

Un procedimiento de pinchazo simulado consiste en que un profesional sanitario inserte una aguja en la piel. La aguja no penetra en la médula espinal; no se extrae líquido cefalorraquídeo ni se administra ningún líquido durante este procedimiento. Ni el participante en el estudio ni su familia sabrán si al participante se le ha asignado el procedimiento de pinchazo simulado o el ION582 durante el periodo doble ciego y controlado del estudio. Los médicos y el personal del estudio comentarán este procedimiento, así como las actividades previas y posteriores al mismo, con los participantes en el estudio.

--

La Fundación del Síndrome de Angelman y la Fundación para Terapias del Síndrome de Angelman (FAST) son organizaciones comunitarias que ofrecen recursos y apoyo a pacientes, cuidadores y otras personas afectadas por el síndrome de Angelman. Para obtener más información sobre Ionis, visite www.ionis.com o envíe un correo electrónico a padvocacy@ionis.com.

Referencias:

1. REVEAL: Estudio de fase III de ION582 en el síndrome de Angelman.
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06914609>. Actualizado el 24 de abril de 2025. Consultado el 24 de abril de 2026.,
2. Estudio REVEAL: estudio de fase III sobre la eficacia y la seguridad de ION582 en niños y adultos con síndrome de Angelman. <https://euclinicaltrials.eu/search-for-clinical-trials/?lang=en&EUCT=2024-519711-33-01>. Consultado el 20 de abril de 2026.,
3. HALOS: Estudio de seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y farmacodinámica de dosis múltiples ascendentes de ION582 en participantes con síndrome de Angelman.
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05127226>. Actualizado el 14 de noviembre de 2025. Consultado el 20 de abril de 2026, 4. Collotta D, et al. Front. Pharmacol. 2023;14:1304342. PA-US-AS-260001

Limitación de responsabilidad

Esta versión es una traducción no oficial del original en inglés y es solo para fines informativos. En caso de discrepancia, prevalecerá el texto oficial original en inglés. Ni la Fundación para la Terapéutica del Síndrome de Angelman (FAST) ni FAST España u Oak Hill Bio se hacen responsables por ninguna inexactitud o error en la traducción ni de ninguna pérdida o daño de ningún tipo, incluidas, entre otras, las pérdidas indirectas o derivadas. Las discrepancias o diferencias creadas en la traducción no son vinculantes y no tienen ningún efecto legal a efectos de cumplimiento con o aplicación de las leyes. Si surge alguna duda sobre la exactitud de la información presentada en la versión traducida, consulte la versión oficial en inglés