

Septiembre de 2026

Estimada comunidad del síndrome de Angelman: En Ionis nos complace informarles de que hemos publicado el diseño del estudio CHAMPION (NCT07782827), nuestro ensayo clínico de fase III para evaluar la eficacia de ION582 (obudanersen) en personas con síndrome de Angelman (SA) debido a disomía uniparental paterna (UPD) o a defectos en el centro de impronta (abreviados como ID o ICD), en clinicaltrials.gov.¹ Algunos aspectos adicionales del estudio incluyen:

-CHAMPION es un ensayo clínico de un solo grupo y abierto. Todos los participantes recibirán obudanersen (80 mg) a lo largo del ensayo. En CHAMPION no se utiliza ningún grupo de control ni de placebo.¹

-CHAMPION consta de un periodo de evaluación del tratamiento de 60 semanas, seguido de un periodo de extensión a largo plazo de unos 25 meses. El obudanersen (80 mg) se administrará mediante punción lumbar cada 12 semanas durante ambos periodos, lo que supone un total de 14 dosis.¹

-Se inscribirán hasta aproximadamente 30 personas en el estudio CHAMPION, repartidas en dos cohortes. La cohorte 1 incluirá a personas con AS por UPD/ID de entre 2 y 18 años, y la cohorte 2 incluirá a adultos de entre 18 y 50 años. Se inscribirán más personas en la cohorte 1 que en la cohorte 2. Se aplican criterios de elegibilidad adicionales.¹

-La inscripción en el estudio CHAMPION se limitará a los centros de ensayos clínicos de Estados Unidos. Los centros se irán añadiendo a la página clinicaltrials.gov de forma continua a medida que se activen para iniciar la inscripción.¹

El diseño del estudio CHAMPION se basó en las aportaciones de profesionales clínicos, organismos reguladores, líderes de asociaciones de apoyo y cuidadores de personas con síndrome de Angelman asociado a una delección del cromosoma 17 (UPD/ID AS), así como en otras reuniones similares coordinadas por Ionis.² Ionis agradece a todos los miembros de la comunidad de Angelman que han contribuido y apoyado los esfuerzos de investigación a lo largo de los años.

Atentamente,

El equipo de Obudanersen

A continuación se incluye información adicional que puede resultarle útil:

¿Dónde puede obtener más información una persona interesada en saber más sobre CHAMPION?

Las personas interesadas en obtener más información sobre cómo participar en un ensayo clínico deben consultar con su médico.

Hay más información sobre CHAMPION disponible en línea en <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07782827>.¹

¿Por qué CHAMPION solo reclutará participantes en Estados Unidos?

Ionis es consciente del gran interés que existe entre la comunidad de personas con síndrome de Angelman (UPD/ID) por participar en ensayos clínicos. La decisión de limitar el reclutamiento en CHAMPION a centros de EE. UU. se tomó para facilitar un reclutamiento rápido y eficiente, así como la finalización del ensayo.

¿Qué es REVEAL y qué relación tiene con CHAMPION?

Ionis pretende evaluar la seguridad y la eficacia de obudanersen en el síndrome de Angelman. REVEAL (NCT06914609) es un ensayo clínico global, aleatorizado, doble ciego y controlado de fase III con obudanersen en personas con un diagnóstico clínico de síndrome de Angelman y confirmación genética de una delección o una mutación del gen UBE3A.³ CHAMPION es también un ensayo clínico de fase III, pero es abierto y se limita a personas con síndrome de Angelman de tipo UPD/ID.¹

La Fundación del Síndrome de Angelman y la Fundación para los Tratamientos del Síndrome de Angelman (FAST) son organizaciones comunitarias que proporcionan recursos y apoyo a los 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.

Abreviaturas: AS, síndrome de Angelman; UPD, disomía uniparental paterna; ID o ICD, defectos del centro de impronta

Referencias: 1. Clinicaltrials.gov NCT07782827 CHAMPION, 2. Reunión consultiva de cuidadores sobre UPD/ID 2026, 3. Clinicaltrials.gov NCT06914609 REVEAL

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 Ionis 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