

Une mise à jour pour la communauté de la maladie de Huntington sur SKY- 0515

Chers amis de la communauté de la maladie de Huntington,

Nous aimerions partager une mise à jour sur les recherches en cours sur SKY-0515, un médicament expérimental à l'étude pour la maladie de Huntington (MH). Un communiqué de presse scientifique a été publié aujourd'hui, et cette lettre vise à expliquer l'actualité d'une manière plus axée sur la communauté et plus facile à lire.

Nous savons à quel point il est important pour les familles et les personnes touchées par la MH de recevoir des mises à jour claires et honnêtes, et nous vous remercions d'avoir pris le temps de le lire.

Qu'est-ce que SKY- 0515 ?

SKY-0515 est un **médicament oral expérimental à prendre une fois par jour** qui n'est actuellement disponible que dans le cadre d'essais cliniques. Son utilisation n'est approuvée pour aucune maladie ni dans aucun pays.

Le médicament expérimental est conçu pour affecter deux facteurs biologiques impliqués dans la MH :

- La **huntingtine mutante (HTTm)**, la protéine anormale responsable de la MH
- **PMS1**, une protéine qui peut être impliquée dans les processus liés à la progression de la maladie

Les chercheurs étudient si les modifications de ces marqueurs biologiques pourraient être pertinentes pour la MH au cours du temps.

Qu'est-ce qui a été partagé dans l'annonce du 27 janvier ?

L'annonce comprenait les résultats d'une **analyse intermédiaire à neuf mois** menée auprès de personnes atteintes de la MH à un stade précoce participant à une étude clinique de phase 1.

Cette étude est principalement axée sur la sécurité et sur la compréhension du comportement du médicament expérimental dans l'organisme.

Voici ce qui a été observé jusqu'à présent :

Modifications des marqueurs biologiques

- Les personnes prenant SKY-0515 ont présenté des **réductions dose-dépendantes des taux de la HTTm dans le sang**
- À la dose la plus élevée étudiée, des réductions moyennes d'environ **62 % ont été observées**
- Des réductions de **l'ARNm de PMS1 d'environ 26 %** ont également été observées
- Il a été démontré que le médicament expérimental **atteignait le cerveau**, ce qui est essentiel pour le traitement de la MH

Ces résultats suggèrent que SKY-0515 interagit avec ses cibles biologiques prévues. À ce stade, on ne sait pas comment ces changements sont liés aux symptômes ou aux résultats à long terme.

Que savons-nous de la sécurité ?

- Jusqu'à présent, SKY-0515 a été **généralement bien toléré** dans le cadre de l'étude
- Aucun problème de sécurité significatif n'a été identifié dans les données rapportées.
- La sécurité continue d'être surveillée de près au fur et à mesure que les études avancent

Les symptômes ou les fonctions des personnes ont-ils été mesurés ?

Les chercheurs ont également recueilli des évaluations cliniques exploratoires, y compris un score combiné appelé Composite Unified Huntington's Disease Rating Scale (**cUHDRS**), qui examine le mouvement, la pensée et les fonctions quotidiennes.

- Les scores moyens étaient **généralement stables au cours du temps**, avec de légères variations observées
- Après neuf mois, les participants au SKY-0515 ont présenté de **légères améliorations moyennes par rapport à la valeur de référence**
- Comme il s'agit d'une étude de phase précoce avec un nombre limité de participants, ces résultats doivent être interprétés avec prudence
- Des études de plus grande envergure et de plus longue durée sont nécessaires pour mieux comprendre si SKY-0515 peut avoir un effet sur les symptômes ou la progression de la MH.

Quelles études sont en cours actuellement ?

Étude de phase 1

- L'inscription est terminée
- Les participants continuent pour une période de prolongation en aveugle
- Des données supplémentaires sont attendues mi-2026

Étude de phase 2/3 FALCON-HD

- Actuellement, inscription en Australie, en Nouvelle-Zélande et en Géorgie. D'autres pays seront bientôt ajoutés
- Les participants recevront un traitement ou un placebo pendant au moins 12-18 mois
- Cette étude évaluera plus en détail la sécurité, les marqueurs biologiques et les mesures cliniques.

Plus de détails sont disponibles sur [ClinicalTrials.gov NCT06873334](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06873334) et www.FALCON-HD.com.

Que signifie cette mise à jour pour la communauté HD ?

Ces résultats constituent une avancée précoce mais significative dans le développement clinique de SKY-0515. Les résultats montrent que le médicament a des effets biologiques mesurables, mais il est encore trop tôt pour savoir ce que cela peut signifier pour les personnes atteintes de la MH.

SKY-0515 reste un traitement expérimental, et des recherches supplémentaires sont nécessaires avant de pouvoir tirer des conclusions quant à son rôle potentiel dans le traitement de la MH. Nous restons déterminés à partager les mises à jour de manière transparente à mesure que la science évolue.

Restez engagé

Au cours des prochains mois, les membres de l'équipe Skyhawk participeront à des événements communautaires, à des conférences et à des webinaires organisés par plusieurs organisations de défense des droits des patients, notamment Huntington's Australia, Huntington's Victoria, Huntington's Disease Association of Auckland, Huntington's Disease Association of America, Huntington Society of Canada, Huntington's Disease Youth Organization, Factor-H, **Association Huntington France** et Association de la maladie de Huntington en Angleterre et des baleines.

Ces organisations communiqueront des informations sur les dates, les heures et les modalités



d'adhésion via leurs canaux habituels. Nous vous encourageons donc à les suivre pour les dernières mises à jour.

Merci

Nous sommes profondément reconnaissants aux personnes et aux familles qui prennent part aux études de recherche, ainsi qu'aux organisations de défense des droits et aux membres de la communauté qui continuent de soutenir la recherche sur la MH. Nous savons que la communauté attend des progrès depuis longtemps, et nous vous sommes reconnaissants de continuer à collaborer avec nous malgré les incertitudes. Merci de placer vos espoirs et votre confiance dans la recherche.

Nous restons déterminés à partager les mises à jour au fur et à mesure de l'avancement de la recherche.

Avec reconnaissance,

L'équipe Skyhawk Therapeutics