



ESSENCE - Fase 3

Stati Uniti, Israele, Regno Unito, Francia, Germania, Italia, Spagna, Svezia, Belgio, Repubblica Ceca

Questo studio clinico coinvolge SRP-4045 e SRP-4053, due oligonucleotidi antisenso (AON) che impiegano un morfolino fosfodiammidato (PMO). Entrambe le molecole sono sviluppate da Sarepta Therapeutics per indurre lo skipping rispettivamente dell'esone 45 e dell'esone 53 del gene della distrofina.

Quali sono i dati preliminari?

Lo studio è stato avviato sulla base dei risultati positivi ottenuti nei precedenti trial di fase 2 condotti con le singole molecole, SRP-4045 e SRP-4053.

In che fase di sviluppo è questo studio e qual è l'obiettivo?

Si tratta di uno studio clinico di fase 3 multicentrico, randomizzato, in doppio cieco e controllato con placebo, finalizzato a valutare l'efficacia e la sicurezza di entrambe le molecole antisenso, SRP-4045 e SRP-4053.

Chi può prendere parte allo studio?

Possono partecipare allo studio pazienti con una diagnosi di distrofia muscolare di Duchenne, di età compresa tra i 7 e i 13 anni, deambulanti, in trattamento stabile con steroidi da almeno 6 mesi, con funzionalità cardiaca e polmonare stabile, e con una delezione nel gene della distrofina trattabile attraverso lo skipping dell'esone 45 o dell'esone 53. È previsto che per lo studio saranno arruolati 99 pazienti, dei quali 45 trattabili mediante lo skipping dell'esone 45 e altri 45 trattabili mediante lo skipping dell'esone 53.

Come si svolge lo studio?

I pazienti arruolati vengono assegnati, in maniera casuale, ai gruppi che ricevono 30mg/kg di SRP-4045 o 30mg/kg di SRP-4053 (66 pazienti totali) o al gruppo che riceve il placebo (33 pazienti). I pazienti che ricevono il trattamento attivo sono quindi il doppio rispetto ai pazienti che ricevono il placebo. Le somministrazioni sono effettuate per via intravenosa, una volta a settimana per un totale di 96 settimane. Al termine dello studio, seguirà un periodo di estensione in aperto in cui tutti i pazienti riceveranno il trattamento sperimentale per un ulteriore periodo massimo di 96 settimane. Quando i primi 75 dei partecipanti allo studio in doppio cieco avranno completato 48 settimane di trattamento, un gruppo indipendente di esperti revisionerà i risultati del trial e deciderà se i pazienti potranno poi passare alla fase in aperto dello studio, ricevendo il trattamento attivo, o se dovranno proseguire nello studio controllato con il placebo oltre le 96 settimane stabilite.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge?

Lo studio è finanziato da Sarepta Therapeutics e si svolge negli Stati Uniti, in Israele e in diversi Paesi europei. In Italia i centri clinici coinvolti sono: l'Istituto Giannina Gaslini di Genova, l'Università degli Studi di Ferrara, il Policlinico Universitario Agostino Gemelli di Roma e il Policlinico Universitario G. Martino di Messina.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.sarepta.com, www.clinicaltrials.gov (NCT02500381) e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it