

## ***ATALUREN – Estensione fase 2 e pianificazione fase 3***

*Stati Uniti, Canada, Europa, Australia e Israele*

Ataluren, precedentemente chiamato PTC124, è un farmaco per uso orale prodotto da PTC Therapeutics e designato come farmaco orfano dall'FDA per il trattamento della DMD e BMD causate da mutazioni “non senso” (chiamate anche mutazioni di stop).

Nel 10-15% di pazienti affetti da DMD e BMD la patologia è causata da mutazioni “non senso”.

### **In che fase di sviluppo è questo studio?**

È stato avviato uno studio clinico di proseguimento con ataluren del precedente trial di fase 2b iniziato nel 2009 e sospeso nel 2010. È inoltre in pianificazione un trial di fase 3.

Sulla base dei risultati dello studio di fase 2b, l'EMA ha validato la Domanda di Autorizzazione per l'Immissione in Commercio (MAA) per l'Approvazione Condizionale di ataluren. Il disegno di un trial di conferma di fase 3 con ataluren supporterebbe l'Approvazione Condizionale.

### **Qual è lo scopo di questi studi e chi potrà partecipare?**

Al trial di proseguimento avranno accesso tutti i ragazzi DMD e BMD che hanno precedentemente partecipato alle sperimentazioni di fase 2b con ataluren, indipendentemente dalla loro attuale capacità di camminare. Il trial, con protocollo di tipo open-label senza placebo (ovvero tutti i pazienti riceveranno il farmaco), ha lo scopo di valutare la sicurezza della somministrazione della dose bassa di ataluren (10mg/kg la mattina, 10mg/kg il pomeriggio e 20mg/kg la sera).

Lo studio di fase 3 seguirà un protocollo di tipo randomizzato, in doppio cieco controllato con placebo e avrà la durata di 48 settimane. L'obiettivo primario è di convalidare la capacità di ataluren (con somministrazione della dose bassa) di rallentare la progressione della patologia, valutata attraverso il 6MWT. Saranno valutati anche gli obiettivi secondari collegati alla funzionalità fisica e alla qualità della vita. A questo studio potranno partecipare pazienti DMD con una diagnosi genetica di mutazione “non senso”, di età compresa tra i 7 e i 16 anni, con un risultato del 6MWT di almeno 150 metri e che siano in terapia steroidea. È previsto un reclutamento di 220 pazienti che inizierà entro il primo trimestre del 2013 e che si concluderà entro la metà del 2014.

### **Chi finanzia questi studi e dove si svolgeranno?**

Gli studi sono finanziati da PTC Therapeutics.

Il trial di fase 2b concluso nel 2010 è stato condotto in 37 centri clinici, di 11 nazioni, in 4 diversi continenti (Stati Uniti, Canada, Europa, Australia e Israele). Lo studio di proseguimento sarà svolto negli stessi centri clinici. **In Italia** i centri clinici sono: Policlinico di **Milano**, Policlinico Gemelli di **Roma** e Ospedale Bambino Gesù di **Roma**.

Per il trial di fase 3, PTC Therapeutics sta ancora valutando la scelta dei paesi e dei centri clinici che parteciperanno allo studio.

### **Quando è previsto l'avvio degli studi?**

I tempi di reclutamento del trial di proseguimento di fase 2b variano da nazione a nazione. In alcuni paesi il trial è già in corso, ad esempio negli Stati Uniti, mentre in altri il reclutamento è in avvio, come in Italia. Si prevede che saranno arruolati oltre 200 pazienti.

Per il trial di fase 3 la data d'inizio per ogni centro clinico sarà influenzata da diversi fattori, quali i processi di approvazione da parte delle agenzie regolatorie nazionali e dei comitati etici locali. È probabile che i primi centri inizieranno la sperimentazione entro la prima metà del 2013.

### **Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?**

Le informazioni sono disponibili sui siti [www.ptcbio.com](http://www.ptcbio.com), [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) e sul sito di Parent Project onlus [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)