



Duchenne
Parent
Project
onlus

ETEPLIRSEN - Fase 2

Gran Bretagna e Stati Uniti

Eteplirsén, precedentemente noto come AVI-4658, è un oligonucleotide antisense (AON) di tipo morfolino fosfodiammidato oligonucleotide (PMO) prodotto da Sarepta Therapeutics.

Questa molecola potrebbe rappresentare una futura terapia per quei pazienti DMD con una delezione nel gene della distrofina potenzialmente trattabile con lo skipping dell'esone 51.

Tali pazienti rappresentano circa il 13% della popolazione Duchenne.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Sarepta Therapeutics ha completato due studi clinici di fase 1/2 in Gran Bretagna a fine 2010 e un trial di fase 2 negli Stati Uniti (denominato studio 4658-US-201) nel 2012.

Qual è l'obiettivo di questi studi?

Lo scopo degli studi di fase 1/2 è stato di valutare la sicurezza e la tollerabilità di eteplirsén nei pazienti DMD. Lo studio 4658-US-201, con protocollo di tipo randomizzato, in doppio cieco e controllato con placebo, ha valutato l'efficacia, la sicurezza, la tollerabilità e la farmacocinetica relativi alla somministrazione di due diversi dosaggi (30mg/Kg e 50mg/Kg) una volta a settimana per 6 mesi.

Chi finanzia questi studi?

Questo studio è finanziato da Sarepta Therapeutics.

Quali sono i risultati degli studi?

I risultati ottenuti dai trial di fase 1/2 hanno dimostrato un profilo di sicurezza e tollerabilità ampiamente favorevole; successivamente, lo studio 4658-US-201 ha mostrato un significativo aumento di fibre distrofina-positivo in seguito al trattamento con eteplirsén e un miglioramento dei risultati del 6MWT. Inoltre, l'assenza di effetti collaterali importanti ha consentito di confermare la sicurezza del farmaco.

Chi ha partecipato a questi studi?

Sono stati reclutati pazienti DMD con un'età compresa tra i 7 e i 13 anni, deambulanti e con una mutazione nel gene della distrofina trattabile con lo skipping dell'esone 51.

Ci saranno altri studi clinici e, se sì, quando?

Al momento è in corso l'estensione dello studio 4658-US-201 (denominato 4658-US-202) che continua a valutare la sicurezza a lungo termine e l'efficacia di eteplirsén in aperto. Inoltre, Sarepta Therapeutics sta iniziando la pianificazione di un trial di fase 3 che non includa il placebo e che sia approvabile dall'FDA. È ancora troppo presto per prevedere le tempistiche.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni a proposito di questo studio?

Le informazioni sono disponibili sui siti <http://www.sareptatherapeutics.com>, www.clinicaltrials.gov e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it