



Duchenne
Parent
Project
onlus

IDEBENONE - Fase 3

Austria, Belgio, Francia, Germania, Olanda, Svezia, Svizzera e Stati Uniti

Catena®, la denominazione farmaceutica dell'idebenone, è una piccola molecola prodotta da Santhera Pharmaceuticals che agisce aiutando il processo di produzione di energia all'interno della cellula. L'efficacia e la tollerabilità della molecola sono già state dimostrate nel trial clinico di fase 2 completato da Santhera nel 2007. Questo nuovo studio, denominato DELOS, coinvolgerà un maggior numero di pazienti e di centri clinici distribuiti su scala mondiale.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Questo è uno studio clinico di fase 3 che non ha ancora ultimato il reclutamento.

Qual è lo scopo di questo studio?

Lo scopo di questo studio è di valutare gli effetti relativi alla somministrazione di Catena® sulla funzionalità polmonare, la funzionalità motoria, la forza muscolare e la qualità della vita in pazienti DMD. Inoltre, saranno prese in esame la sicurezza e la tollerabilità del composto.

Chi finanzia questo studio?

Questo studio è finanziato da Santhera Pharmaceuticals.

Chi può prendere parte allo studio?

A questo studio possono partecipare pazienti DMD di età compresa tra i 10 e i 18 anni, indipendentemente dalla loro capacità di deambulazione.

Il reclutamento dei pazienti avverrà in tempi diversi in base all'uso del cortisone. I pazienti che non sono in trattamento con cortisone saranno reclutati per primi.

Come si svolgerà lo studio e dove?

I partecipanti saranno suddivisi in due gruppi, uno riceverà Catena® (900mg/giorno), l'altro il placebo. Entrambi i gruppi assumeranno il composto tre volte al giorno durante i pasti e per un periodo complessivo di 52 settimane (1 anno).

Il principale parametro di valutazione, impiegato per valutare l'efficacia dell'idebenone nel rallentare il declino della funzionalità respiratoria nei pazienti DMD, sarà il valore percentuale del picco di flusso espiratorio (PEF). In questo studio sarà inoltre valutata la forza muscolare, la funzionalità motoria, la qualità della vita, la sicurezza e la tollerabilità relative all'assunzione del farmaco.

Al momento lo studio si svolge in 23 centri clinici che si trovano negli Stati Uniti e in diversi paesi europei (Austria, Belgio, Francia, Germania, Olanda, Svezia e Svizzera).

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.santhera.com,

www.clinicaltrials.gov/show/NCT01027884

e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it