



## **SMT C1100 - Fase 1**

*Europa e Stati Uniti*

SMT C1100 è una piccola molecola, prodotta da Summit PLC, in grado di aumentare i livelli di utrofina presenti nelle cellule muscolari. Questo composto ha mostrato la sua efficacia in studi preclinici e potrebbe rappresentare un valido trattamento complementare ad altri approcci terapeutici al momento in studio per la DMD e BMD.

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

SMT C1100 è stato recentemente riformulato in seguito ai risultati negativi ottenuti in un precedente studio clinico di fase 1, che evidenziava una scarsa capacità di assorbimento e biodisponibilità della vecchia formulazione. La nuova versione di SMT C1100 è stata testata in un nuovo trial di fase 1 su volontari sani che si è concluso nel 2012

### **Qual è lo scopo di questo studio?**

L'utrofina è una proteina simile alla distrofina che viene normalmente prodotta durante lo sviluppo fetale per poi diminuire e scomparire dopo la nascita. È stato dimostrato che aumentare la produzione di utrofina può compensare la mancanza di distrofina e aiutare a recuperare la funzionalità muscolare.

### **Chi finanzia questo studio?**

Lo studio è finanziato da Summit PLC. Inoltre, lo studio di fase 1 ha ricevuto fondi da diverse fondazioni: Muscular Dystrophy Association (MDA), Charley's Fund, Cure Duchenne, the Foundation to Eradicate Duchenne, Nash Avery Foundation e PPMD (il Parent Project americano).

### **Qual è lo stato attuale dello studio?**

La sperimentazione clinica di fase 1 su 48 volontari sani ha mostrato che SMT C1100:

- 1- È sicuro e ben tollerato a tutti i dosaggi analizzati e mostra un miglioramento nel livello di biodisponibilità del composto che è superiore rispetto a quello teoricamente ipotizzato come necessario per ottenere un'efficacia clinica.
- 2- A seguito di un aumento del dosaggio singolo da 50mg/kg fino a 400mg/kg si ha un incremento, per diverse ore, dei livelli di SMT C1100 nel sangue.
- 3- La concentrazione plasmatica è più elevata rispetto alla precedente formulazione.

### **Quali saranno i prossimi passi per avviare altri studi clinici?**

Prima di avviare un trial di fase 2 su pazienti DMD sono necessari ulteriori studi per valutare la sicurezza del composto a lungo termine e per quantificare i livelli di utrofina prodotta.

### **Dove si svolgeranno i futuri studi e quando?**

I futuri trial potrebbero svolgersi sia in Europa che negli Stati Uniti. È ancora troppo presto per prevedere le tempistiche.

### **Dove posso ottenere ulteriori informazioni a proposito di questo studio?**

Le informazioni sono disponibili sul sito [www.summitplc.com](http://www.summitplc.com) e sul sito di Parent Project onlus [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)