

DART Therapeutics prosegue lo sviluppo clinico di HT-100 per la Distrofia Muscolare di Duchenne

Il programma clinico di fase 1b/2a riprende il reclutamento e il dosaggio nei pazienti DMD

I dati clinici preliminari saranno presentati durante la prossima conferenza medica

Cambridge, Mass. – 12 giugno 2014 – DART Therapeutics Inc., un nuovo modello di azienda biotecnologica innovativa focalizzata sullo sviluppo di terapie per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD), ha annunciato oggi la ripresa dello sviluppo clinico della sua principale molecola candidata, HT-100 (alofuginone a lento rilascio), una piccola molecola candidata, somministrabile oralmente, volta a ridurre la fibrosi e l'infiammazione e a promuovere una migliore rigenerazione muscolare nei ragazzi DMD. La company continuerà a reclutare e a trattare i pazienti DMD in questo studio clinico di fase 1b/2a in corso per valutare la sicurezza e la tollerabilità di dosi crescenti di HT-100, e esplorare l'andamento di una serie di endpoint relativi all'efficacia. I dati clinici preliminari inerenti la prima coorte di pazienti trattati in questo studio saranno presentati in occasione della conferenza "New Directions in Biology and Disease of Skeletal Muscle Conference" che si terrà a Chicago dal 29 giugno al 2 luglio 2014.

Marc B. Blaustein, CEO di DART Therapeutics ha dichiarato: "Siamo felici di riprendere lo sviluppo clinico di HT-100, a seguito delle interazioni positive avute con l'FDA. HT-100 è potenzialmente in grado di trattare non solo i principali aspetti patologici associati alla DMD, incluse fibrosi ed infiammazione, ma anche di promuovere una migliore rigenerazione del muscolo. Siamo impazienti di presentare i dati preliminari relativi allo studio clinico di fase 1b/2a in corso nelle prossime settimane".

Il programma clinico multicentrico di fase 1b/2a sta reclutando 30 ragazzi e giovani uomini DMD di età compresa tra i 6 ed i 20 anni, sia deambulanti che non deambulanti, consentendo agli sperimentatori di valutare HT-100 in una vasta popolazione di pazienti. Lo studio è disegnato per valutare la sicurezza e la tollerabilità di una serie di dosi crescenti di HT-100. Inoltre, lo studio è stato anche disegnato per valutare gli andamenti di una serie di biomarcatori e endpoint di efficacia esplorativi. I biomarcatori valutati nello studio includono le misurazioni della formazione e degradazione della fibrosi nel muscolo, effettuabili attraverso il plasma che sono state validate in altri stati patologici. Gli endpoint degli obiettivi clinici includono i test della funzionalità motoria e della forza muscolare, così come le misure della funzionalità polmonare e cardiaca.

Traduzione a cura dell'ufficio scientifico di Parent Project onlus