

Comunicato Santhera 13 Maggio 2014

Santhera annuncia l'esito positivo dello studio di fase 3 con Catena[®]/Raxone[®] nella distrofia muscolare di Duchenne

Liestal, Svizzera, 13 maggio 2014 – Santhera Pharmaceuticals (SIX:SANN) ha annunciato oggi che lo studio DELOS di fase 3 basato sulla somministrazione orale di **Catena[®]/Raxone[®]** (anche conosciuto come idebenone) in pazienti affetti da distrofia muscolare Duchenne (DMD) ha soddisfatto l'endpoint primario e ha raggiunto il suo obiettivo primario di rallentare la perdita della funzionalità respiratoria rispetto al placebo.

Lo studio di fase 3 DELOS, in doppio cieco e controllato con placebo, è stato svolto distribuendo in maniera random 65 pazienti DMD con un'età compresa tra 10 e 18 anni e non in concomitante terapia con corticosteroidi. Lo studio ha soddisfatto l'endpoint primario, ovvero mostrare una differenza tra il gruppo che ha ricevuto **Catena[®]/Raxone[®]** e quello che ha assunto il placebo, nella variazione del Picco di Flusso Espiratorio ($p=0.04$) a 52 settimane rispetto al valore di partenza. Il Picco di Flusso Espiratorio è una misura della forza dei muscoli respiratori, il cui declino è uno dei maggiori fattori contribuenti alla morbilità e alla mortalità nella DMD. **Catena[®]/Raxone[®]** (900 mg/al giorno) si è dimostrato sicuro e ben tollerato con effetti collaterali comparabili al placebo. Sono in corso le analisi di ulteriori endpoint dello studio i cui risultati saranno resi noti a breve.

Thomas Meier, CEO di Santhera ha dichiarato: “Siamo entusiasti di questi risultati che sono coerenti con quanto evidenziato dallo studio di fase 2 DELPHI e dal suo studio di estensione. Come è stato riconosciuto dai clinici e dalle autorità regolatorie, preservare la funzionalità respiratoria è un beneficio importante per i pazienti DMD. Sulla base di questi risultati interpellaremo le autorità regolatorie statunitensi ed europee per discutere in merito al percorso regolatorio più rapido per arrivare all'approvazione”.

Gunnar Buyse, M.D., Ph. D., professore di neurologia pediatrica del policlinico universitario di Leuven (Belgio) e sperimentatore principale per lo studio DELOS ha commentato: “Sono molto entusiasta dell'esito positivo del trial DELOS. Questa è una notizia straordinariamente positiva per i pazienti DMD dal momento che indica che **Catena[®]/Raxone[®]** è in grado di ridurre la disfunzione e la debolezza respiratoria”.

Santhera detiene i diritti di commercializzazione globale per il programma nella DMD, ed ha ottenuto la designazione di farmaco orfano e la tutela brevettuale sia negli Stati Uniti che in Europa.

Catena[®]/Raxone[®] nel trattamento della distrofia muscolare di Duchenne

La distrofia muscolare Duchenne (DMD) è una delle più gravi e comuni tipologie di degenerazione muscolare che porta ad un rapido indebolimento della muscolatura debolezza muscolare che progredisce rapidamente. E' una patologia genetica degenerativa che viene trasmessa con modalità recessiva legata al cromosoma X con un'incidenza di circa 1 maschio su 3500 nati vivi nel mondo. La DMD è caratterizzata dalla completa assenza della proteina distrofina, che causa danno cellulare, un'alterata omeostasi del calcio, elevato stress ossidativo e una riduzione della produzione di energia nelle cellule muscolari. Ciò si traduce in una progressiva debolezza e atrofia muscolare e a una morbilità precoce dovuta a insufficienza respiratoria. L'idebenone è un benzochinone sintetico a catena corta e un cofattore dell'enzima NAD(P)H:chinone ossidoreduttasi (NQO1) in grado di

stimolare la catena mitocondriale di trasporto degli elettroni e di integrare i livelli di energia cellulare.

Traduzione a cura dell'Ufficio Scientifico di Parent Project onlus.