

Sarepta Therapeutics annuncia il dosaggio del primo paziente nello studio con eteplirsen nei pazienti con Distrofia Muscolare di Duchenne non deambulanti.

CAMBRIDGE, Mass.-Nov. 12, 2014. Sarepta Therapeutics, Inc., una company focalizzata sullo sviluppo di terapie basate sull'RNA, annuncia oggi di aver iniziato il dosaggio in uno studio clinico con eteplirsen, il principale candidato terapeutico per l'exon skipping della company per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD), in pazienti non deambulanti o in uno stato avanzato della DMD che non consente il raggiungimento del valore minimo del test del cammino dei 6 minuti al basale.

Lo studio in aperto 4658-204 (Studio 204) includerà circa 20 pazienti trattati con eteplirsen che hanno un genotipo trattabile con lo skipping dell'esone 51 e che soddisfano altri criteri d'inclusione nello studio. Lo studio sarà condotto in diversi siti negli Stati Uniti ed è disegnato per valutare la sicurezza di eteplirsen in pazienti DMD durante 96 settimane di somministrazione. I pazienti reclutati nello studio, riceveranno una infusione intravenosa settimanale di eteplirsen 30mg/kg e verranno raccolti dati relativi ad una serie di parametri di sicurezza e a endpoint secondari di efficacia.

Edward Kaye, M.D., Chief Medical Officer di Sarepta ha commentato " l'avvio di questo studio con eteplirsen rappresenta un importante traguardo per i pazienti, le loro famiglie e la comunità DMD. L'ampliamento della popolazione DMD per includere i pazienti più grandi e non deambulanti dimostra il nostro forte impegno nello sviluppo di eteplirsen per i pazienti in tutti gli stadi della DMD e fornirà dati aggiuntivi per supportare la nostra sottomissione dell'NDA pianificata".

Fawn Leigh, M.D., del Mass General Hospital e principale sperimentatore dello studio ha aggiunto, "Eteplirsen è un trattamento potenzialmente in grado di avere un forte impatto per i pazienti DMD. Sono lieto di poter essere in grado di offrire ai miei pazienti, questo promettente trattamento volto a modificare la patologia e alterare potenzialmente il decorso di questa devastante patologia".

*Traduzione a cura dell'Ufficio Scientifico di Parent Project Onlus*