



Prosensa annuncia la pubblicazione sulla rivista Lancet Neurology dei risultati dello studio esplorativo di fase 2 (DEMAND2) che dimostrano l'efficacia e la sicurezza di drisapersen nei pazienti con distrofia muscolare di Duchenne

LEIDEN, Olanda – 8 Settembre, 2014 - Prosensa Holding N.V., la company biofarmaceutica focalizzata sullo sviluppo di terapie di modulazione dell'RNA per patologie rare con bisogni clinici fortemente insoddisfatti, ha annunciato oggi la pubblicazione sulla rivista Lancet Neurology <http://bit.ly/1rSMpeJ> dell'insieme dei dati provenienti dal suo studio esplorativo di fase 2 in doppio cieco e controllato con placebo (DEMAND II/ DMD114117/ NCT01153932) con drisapersen nei pazienti con Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD).

La pubblicazione dei risultati dello studio, che ha analizzato l'efficacia e la sicurezza di drisapersen somministrato per 48 settimane, conferma l'esito positivo dello studio DEMAND II, che ha raggiunto il suo obiettivo primario in assenza di problematiche importanti legate alla sicurezza. I principali risultati dello studio erano stati presentati per la prima volta nell'Aprile 2013. Sulla base di questo insieme di dati, nel giugno 2013, Drisapersen ha ricevuto dall'FDA la designazione di Breakthrough Therapy. Lo studio DEMANDII ha valutato l'effetto di due diversi regimi di dosaggio di drisapersen (continuo e intermittente) in 53 pazienti DMD presso 13 centri in 9 paesi. Alla settimana 25 (obiettivo primario) il valore medio del testo del cammino dei 6 minuti (6MWT) era aumentato di 31.5m (SE 9.8) rispetto al valore baseline nel gruppo in trattamento continuo con drisapersen, risultando in una differenza media nel cambiamento dal valore basale rispetto al placebo pari a 35.1m (95% CI 7.59 to 62.60; p=0.014). Nella DMD questa è la prima volta che una terapia volta a modificare il decorso della patologia mostra, rispetto al placebo, una differenza dovuta al trattamento statisticamente e clinicamente significativa, come misurato attraverso il 6MWT.

Alla settimana 49, la differenza media nel 6MWT (35.9) è stata clinicamente, ma non statisticamente significativa (p=0.051). Sia alla 25° che alla 49° settimana, non è stata osservata nessuna differenza statisticamente significativa nel cambiamento del 6MWT rispetto al valore basale tra il gruppo trattato in modo intermittente con drisapersen e quello che ha ricevuto il placebo, anche se l'analisi della combinazione dei gruppi trattati in modo intermittente con quelli che hanno ricevuto la somministrazione continua confrontata con la combinazione dei gruppi trattati con il placebo ha mostrato una differenza significativa nel 6MWT di 31m (95% CI 0.47 to 62.5, p=0.047) alla 49° settimana. La maggior parte dei pazienti ha riportato eventi avversi di entità lieve o moderata durante il trattamento; nessuno degli eventi avversi ha comportato l'uscita anticipata dallo studio.

In entrambi i gruppi trattati con drisapersen, l'immunofluorescenza ha mostrato un aumento nell'espressione della proteina distrofina nelle biopsie alla settimana 25 rispetto alla misurazione effettuata prima dell'inizio del trattamento, anche se non è stata evidenziata nessuna correlazione con il 6MWT. Una diminuzione della concentrazione della creatin chinasi presente nel siero è stata osservata in entrambi i gruppi che hanno assunto

drisapersen rispetto a quello trattato con il placebo suggerendo un miglioramento dell'integrità delle fibre muscolari.

L'autore principale dello studio nonché principale sperimentatore nel trial professor Thomas Voit MD dell' Institut de Myologie, Universite Pierre et Marie Curie, Parigi, Francia ha affermato "la pubblicazione di questo articolo chiave su drisapersen in una delle riviste scientifiche di tipo peer-reviewed più stimate nel nostro ambito, rappresenta un importante riconoscimento della robustezza dello studio DEMAND II e della significatività clinica dei risultati. Lo studio DEMAND II supporta l'efficacia di drisapersen nel contesto del programma clinico complessivo e io sono orgoglioso di essere parte di questo importante impegno finalizzato a fornire una possibilità di trattamento tanto necessaria ai pazienti DMD"

Il Dr. Giles Champion, Prosensa's Chief Medical Officer e co-autore dello studio ha aggiunto " I risultati dello studio DEMAND II costituiscono una indicazione positiva al fatto che drisapersen possa rappresentare una reale speranza di trattamento della DMD avendo mostrato un miglioramento significativo nell'obiettivo primario in questo gruppo di pazienti DMD. Questi dati costituiranno una parte fondamentale della richiesta che sarà sottomessa ai regolatori e che stiamo attualmente preparando.

Nel mese di giugno Prosensa ha annunciato che la statunitense Food and Drug Administration (FDA) ha delineato un percorso regolatorio di sviluppo per drisapersen attraverso la via dell'approvazione accelerata basato sui dati esistenti, inclusi quelli relativi allo studio DEMAND II. Prosensa rimane in linea con il suo piano di perseguire la richiesta di autorizzazione per drisapersen inizialmente negli Stati Uniti e in Europa, la sottomissione all'FDA è prevista entro la fine dell'anno e quella all'EMA subito dopo.

Traduzione a cura dell'ufficio scientifico di Parent Project onlus