

Catabasis annuncia che il trial PolarisDMD di fase 3 con edasalonexent per la distrofia muscolare di Duchenne ha superato il target di reclutamento

CAMBRIDGE, Mass.-- (BUSINESS WIRE) - 30 settembre 2019 - Catabasis Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ:CATB), l'azienda biofarmaceutica di fase clinica, ha annunciato oggi di aver completato il reclutamento nel trial di fase 3 PolarisDMD con edasalonexent per la distrofia muscolare di Duchenne. Il target di reclutamento, che prevedeva 125 ragazzi, è stato superato per via del grosso interesse dai nostri 40 siti clinici in 8 paesi e del supporto delle associazioni di pazienti. I risultati decisivi del trial di fase 3 PolarisDMD sono attesi per il quarto trimestre 2020 e ci si aspetta che il trial supporti una NDA (New Drug Application – domanda per un nuovo farmaco) nel 2021.

“Siamo entusiasti di aver raggiunto questo importante traguardo. L'interesse e i feedback da parte delle famiglie e dei siti clinici sono stati straordinariamente positivi. In un periodo in cui ci sono una serie di trial per la Duchenne, siamo molto soddisfatti che i clinici e le famiglie abbiano scelto il trial di fase 3 PolarisDMD con edasalonexent” ha detto Joanne Donovan, MD, PhD, Direttore Medico di Catabasis. “Edasalonexent ha le potenzialità per essere una terapia di base, in grado di fornire beneficio ai ragazzi, indipendentemente dalla loro mutazione, con un potenziale beneficio sulla funzionalità non solo muscolare, ma anche cardiaca e ossea. Non vediamo l'ora di completare il trial il prossimo anno e stiamo lavorando diligentemente verso l'obiettivo di rendere edasalonexent disponibile ai pazienti”.

Il trial PolarisDMD ha reclutato 130 ragazzi di età compresa tra i 4 e i 7 anni (fino al compimento dell'ottavo compleanno) con qualsiasi tipo di mutazione che non hanno assunto steroidi per i precedenti 6 mesi. Il trial è randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, con una randomizzazione di tipo 2 a 1, tale per cui due ragazzi ricevono edasalonexent per ogni ragazzo che riceve il placebo. Al completamento delle 52 settimane, tutti i ragazzi e i loro fratelli eleggibili avranno la possibilità di essere reclutati in uno studio di estensione in aperto, denominato GalaxyDMD, disegnato per valutare la sicurezza di edasalonexent a lungo termine. All'interno del trial GalaxyDMD, che ha un programma ottimizzato con visite presso i centri clinici ogni sei mesi, i ragazzi possono cominciare o continuare il trattamento con una terapia di exon-skipping approvata.

Edasalonexent (CAT-1004) è una piccola molecola ad uso orale in fase di studio, disegnata per inibire NF-κB e sviluppata come potenziale terapia di base per tutti i pazienti affetti da DMD, indipendentemente dalla loro mutazione. Nella DMD la perdita di distrofina porta ad una attivazione cronica di NF-κB, che è un motore chiave della progressione della patologia. Il nostro trial in corso di fase 3 PolarisDMD sta valutando l'efficacia e la sicurezza di edasalonexent nell'ottica di una sua registrazione. Edasalonexent è inoltre in fase di studio nel trial di estensione in aperto GalaxyDMD.

Traduzione a cura dell'ufficio scientifico di Parent Project aps.