

ReveraGen BioPharma riceve dall'Istituto Nazionale per la Salute statunitense un finanziamento di carattere etico per restituire i propri dati a coloro che partecipano agli studi clinici con vamorolone

22 ottobre 2019 - Rockville MD

L'Istituto Nazionale di Disordini Neurologici e Infarti (The National Institute of Neurological Disorders and Stroke - NINDS) e l'Istituto Nazionale per la Salute statunitense hanno assegnato a ReveraGen BioPharma un finanziamento di ricerca a carattere etico per restituire ai pazienti con distrofia muscolare di Duchenne (DMD) che partecipano agli studi clinici con vamorolone e alle loro famiglie, i dati del paziente e i dati aggregati dello studio.

Vamorolone è un farmaco di prima classe costituito da una piccola molecola che, dai dati dei trial pubblicati, si è dimostrata in grado di migliorare in maniera significativa la funzionalità muscolare. "Riconosciamo e apprezziamo moltissimo il notevole tempo e impegno richiesto dalle famiglie che partecipano agli studi clinici, e noi ci impegniamo per restituire informazioni sui risultati dei trial alle famiglie il più rapidamente possibile," ha detto Laurie Conklin, Direttore degli Affari Regolatori presso ReveraGen e capo del progetto.

Gli studi clinici sono spesso sottoposti a "[mascheramento](#)" per conservarne l'integrità e la validità. Tuttavia, tali mascheramenti generalmente fanno sì che i pazienti non sappiano se hanno ricevuto il farmaco o il placebo, o quale sia stata la loro risposta al farmaco sperimentale rispetto ad altri partecipanti allo studio. Restituire i risultati ai pazienti e alle loro famiglie richiede l'identificazione di specifici pazienti all'interno di uno studio clinico, su richiesta della famiglia.

Ho lavorato con molte delle famiglie coinvolte negli studi clinici con vamorolone come rappresentante dei pazienti all'interno di ReveraGen", ha detto Suzanne Gaglianone, rappresentante dei pazienti presso ReveraGen. "Io e mio figlio abbiamo partecipato a diversi studi clinici, e riconosco pienamente il desiderio delle famiglie di scoprire dettagli su come il proprio figlio è andato mentre partecipava ad uno studio clinico", ha continuato. La Sig.ra Gaglianone gestirà i contatti con i pazienti, aiutandoli ad identificare i propri figli nei database, e coordinando la restituzione dei dati del paziente e aggregati. "L'approccio di ReveraGen è altamente innovativo, oltre che necessario", ha detto Abby Bronson, Vice Presidente Senior delle Strategie di Ricerca, presso Parent Project Muscular Dystrophy. "Siamo entusiasti di collaborare con ReveraGen facilitando la restituzione dei risultati degli studi clinici ai nostri pazienti e famiglie, e di imparare da questo nuovo progetto di ricerca", ha continuato.

"L'Associazione per la Distrofia Muscolare è contentissima di vedere che ReveraGen condivide con i pazienti i dati dello studio clinico", ha osservato Kristin Stephenson, Vice Presidente Esecutivo, Capo di Servizi di Advocacy e Cura dell'Associazione per la Distrofia Muscolare, "questa è un'opportunità straordinaria per i partecipanti agli studi clinici."

"La Fondazione per lo Sradicamento della Duchenne (FED) è stato un collaboratore di lunga data per il programma di vamorolone nella DMD, e questo impegno innovativo per restituire ai pazienti nei trial i risultati è accolto con estremo favore," ha detto Joel Wood, Direttore Esecutivo di FED.

Dimitrios Athanassiou, membro del consiglio direttivo dell'Associazione World Duchenne (WDO) ha osservato, "Restituire i dati ai partecipanti allo studio è una novità per la comunità DMD, e speriamo che altri sponsor di trial adottino questo modello."