

BMN 045 – Fase 1/2a

Italia, Belgio, Olanda, Francia, Regno Unito

BMN 045 (precedentemente noto come PRO 044) è un oligonucleotide antisense (AON) di tipo 2'-O-Methyl originariamente sviluppato da Prosensa Therapeutics. A partire da fine 2014, la company responsabile dello sviluppo clinico di questa molecola è la statunitense BioMarin.

Questa molecola potrebbe rappresentare una futura terapia per quei pazienti DMD con una delezione nel gene della distrofina potenzialmente trattabile con lo skipping dell'esone 45.

Tali pazienti rappresentano l'8% della popolazione Duchenne.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Questo è uno studio clinico di fase 1/2 in corso.

Qual è lo scopo di questo studio?

Lo scopo di questo studio è di valutare la sicurezza, l'efficacia, la farmacodinamica e la farmacocinetica di BMN 045 in pazienti DMD.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge?

Questo studio è finanziato da BioMarin e coinvolge 5 paesi in Europa: Italia, Belgio, Olanda, Francia e Regno Unito.

In **Italia** il centro clinico coinvolto è il Policlinico Universitario Agostino Gemelli di Roma.

Chi può prendere parte allo studio?

Possono partecipare allo studio pazienti deambulanti affetti da DMD in terapia con corticosteroidi di età superiore ai 5 anni e con una delezione nel gene della distrofina che possa essere corretta attraverso lo skipping dell'esone 45.

Come si svolge lo studio e quale sarà la sua durata?

Lo studio clinico è suddiviso in due parti. La prima parte del trial è di tipo dose-escalation (protocollo che prevede la somministrazione di dosi crescenti del farmaco), avrà una durata totale di almeno 39 settimane e comprenderà 5 gruppi composti da 3 pazienti ciascuno, che riceveranno BMN 045 in un'unica somministrazione endovenosa e multiple somministrazioni (settimanali) sottocute. La seconda parte dello studio comprenderà, oltre ai 5 gruppi (15 pazienti totali) che hanno partecipato alla fase precedente, altri 30 pazienti arruolati successivamente. Questa parte dello studio durerà 48 settimane.

Sono disponibili risultati preliminari?

Al momento non ci sono risultati disponibili ma si stanno elaborando le informazioni raccolte per stabilire quale saranno i passi successivi.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.clinicaltrials.gov/show/NCT01826474 e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)