

## ***BMN 053 – Fase 1/2***

*Italia, Belgio, Francia, Olanda, Regno Unito*

BMN 053 (precedentemente noto come PRO 053) è un oligonucleotide antisenso (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 53.

Tali pazienti rappresentano circa il 8% della popolazione Duchenne.

### **In che fase di sviluppo è questo studio?**

Questo è uno studio clinico di fase 1/2 iniziato a agosto 2013 e tuttora in corso

### **Qual è lo scopo di questo studio?**

Lo scopo di questo studio è verificare la sicurezza, tollerabilità, la farmacodinamica, la farmacocinetica e l'efficacia di BMN 053 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 53.

### **Come si svolgerà 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) e comprenderà 2 gruppi composti da 3 pazienti ciascuno che riceveranno BMN 053 tramite somministrazione endovenosa e sottocute. La seconda parte dello studio comprenderà, oltre ai 2 gruppi (6 pazienti totali) che hanno partecipato alla fase precedente, altri pazienti arruolati successivamente. Questa fase dello studio durerà 48 settimane durante le quali sarà somministrata la molecola al dosaggio identificato.

### **Sono disponibili risultati preliminari?**

Al momento non ci sono risultati disponibili ma si stanno elaborando le informazioni raccolte per stabilire quale sia il dosaggio e la modalità di somministrazione più idonea.

### **Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?**

Le informazioni sono disponibili sui siti

[www.clinicaltrials.gov/show/NCT01957059](http://www.clinicaltrials.gov/show/NCT01957059)

e sul sito di Parent Project onlus [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)

*(scheda aggiornata a gennaio 2016)*