

## **CAP-1002**

*Stati Uniti*

CAP-1002 è una terapia cellulare sperimentale innovativa, basata sull'impiego di cellule cardiache provenienti dal cuore di un donatore. La strategia sfrutta la capacità delle cellule cardiache somministrate di secernere fattori che stimolano la rigenerazione cardiaca e inibiscono l'infiammazione, la fibrosi e lo stress ossidativo, per contrastare la perdita di funzionalità cardiaca nei pazienti Duchenne. La terapia cellulare è già in fase di valutazione in pazienti affetti da cardiomiopatie.

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

Questo è uno studio clinico randomizzato in aperto di fase 1/2 iniziato a febbraio 2016 e denominato HOPE duchenne.

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

Lo scopo principale dello studio è determinare la sicurezza e la tollerabilità del trattamento con la terapia cellulare CAP-1002 somministrata attraverso infusione nelle arterie coronarie nei ragazzi DMD con cardiomiopatia. Lo studio valuterà anche l'efficacia del trattamento rispetto alla composizione del cuore e alla funzionalità muscolare.

### **Chi ha finanziato lo studio e dove si è svolto?**

Lo studio è stato finanziato da Capricor e si svolge negli Stati Uniti.

### **Chi può prendere parte allo studio?**

Possono prendere parte allo studio ragazzi DMD con cardiomiopatia di età superiore ai 12 anni con una fibrosi del ventricolo sinistro in almeno quattro segmenti e una frazione di eiezione  $\geq 35\%$ .

### **Come si svolgerà lo studio e quale sarà la sua durata?**

I partecipanti saranno equamente suddivisi in due gruppi, uno riceverà la terapia cellulare CAP-1002 attraverso la somministrazione delle cellule nelle tre arterie coronarie mentre l'altro non riceverà l'infusione. La durata totale dello studio è pari a 12 mesi, tutti i partecipanti effettueranno controlli dopo 2 e settimane dall'inizio dello studio e dopo 3, 6 e 12 mesi.

### **Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?**

Le informazioni sono disponibili sul sito [www.capricor.com](http://www.capricor.com), sul sito <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02485938?term=capricor&rank=1> e sul sito di Parent Project onlus [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)

*(scheda aggiornata a marzo 2016)*