

CAT-1004 – Fase 1/2

Stati Uniti

CAT-1004 è una molecola sperimentale derivata dalla fusione di due componenti, l'acido salicilico e un acido grasso di tipo omega 3, entrambi con attività anti-infiammatoria. CAT 1004 inibisce la forma attiva di NF-KB, una proteina chiave del processo infiammatorio che agisce promuovendo la degenerazione muscolare, l'infiammazione e la fibrosi e contrastando la capacità rigenerativa del muscolo.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Gli studi clinici di fase 1 in persone adulte con CAT-1004 sono stati completati.

Un trial clinico di fase 1/2 in pazienti con distrofia muscolare di Duchenne denominato MoveDMD, è iniziato nel dicembre del 2015.

Chi finanzia lo studio e dove si svolge?

Lo studio al momento è condotto negli Stati Uniti dalla company Catabasis. Parent Project statunitense sta finanziando i viaggi dei pazienti.

Qual è lo scopo di questo studio e come si svolge?

Lo studio è suddiviso in due parti, la prima valuterà sicurezza, tollerabilità e farmacocinetica relative alla somministrazione di tre differenti dosaggi di CAT-1004 nei pazienti per un periodo di sette giorni. La seconda parte dello studio sarà un trial randomizzato in doppio cieco, controllato con placebo che valuterà la sicurezza e l'efficacia di CAT-1004 in pazienti DMD per un periodo di 12 settimane.

Chi può prendere parte allo studio?

Allo studio possono partecipare ragazzi DMD di età compresa tra i 4 e i 7 anni in grado di deambulare autonomamente, non in trattamento steroideo negli ultimi 6 mesi e che non prevedono di iniziare il trattamento nei prossimi 6 mesi.

Ulteriori criteri di inclusione e esclusione ed ulteriori dettagli sul trial clinico sono disponibili al sito www.clinicaltrial.gov

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni saranno disponibili sul sito www.clinicaltrials.gov/show/NCT02439216 e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)