

CATENA®/RAXONE® - Fase 3

Austria, Belgio, Francia, Germania, Olanda, Svezia, Svizzera e Stati Uniti

Catena®/Raxone®, la denominazione farmaceutica dell'idebenone, è una piccola molecola prodotta da Santhera Pharmaceuticals che agisce aiutando i mitocondri, le centrali energetiche cellulari, nel processo di produzione di energia. L'idebenone inoltre è anche un potente anti-ossidante e può pertanto neutralizzare i radicali liberi presenti nella cellula.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Questo è uno studio clinico di fase 3 completato di cui sono già disponibili i risultati.

Qual è stato lo scopo di questo studio?

Lo studio, controllato con placebo, ha valutato la sicurezza, la tollerabilità e gli effetti relativi alla somministrazione di Catena®/Raxone® per un periodo di 52 settimane (1 anno) sulla funzionalità polmonare, la funzionalità motoria, la forza muscolare e la qualità della vita in pazienti DMD.

Chi ha finanziato questo studio?

Questo studio è stato finanziato da Santhera Pharmaceuticals.

Chi ha preso parte allo studio?

A questo studio hanno partecipato 64 pazienti DMD di età compresa tra i 10 e i 18 anni, indipendentemente dalla loro capacità di deambulazione e che non stavano assumendo steroidi.

Quali sono stati i risultati dello studio?

I risultati dello studio sono stati pubblicati ad aprile 2015 sulla rivista scientifica The Lancet (Buyse et al., 2015; 385: 1748-57). I risultati dello studio DELOS hanno dimostrato che Catena®/Raxone® riduce significativamente il declino annuale della perdita della funzionalità respiratoria misurata attraverso il Picco di Flusso Espiratorio, fino al 66% nei pazienti che hanno assunto il farmaco rispetto al placebo. Tali risultati positivi sono stati confermati e supportati anche dagli altri parametri di valutazione della funzionalità respiratoria come la Capacità Vitale Forzata (FVC) e il Volume Espiratorio Forzato (FEV1). Inoltre il trattamento è risultato sicuro e ben tollerato. Ulteriori risultati a supporto dell'efficacia di Catena®/Raxone® sulla funzionalità respiratoria sono stati ottenuti confrontando i dati raccolti nello studio con quelli di storia naturale.

Quali sono i prossimi passi?

In seguito ai risultati positivi ottenuti Santhera ha iniziato il percorso di dialogo con le autorità regolatorie sia statunitense che europea per l'ottenimento dell'autorizzazione alla commercializzazione di Catena®/Raxone®. La company sta inoltre preparando un ulteriore studio clinico, che servirà a verificare se il trattamento con Catena®/Raxone® è in grado di rallentare la perdita di funzionalità respiratoria anche nei pazienti DMD che assumono steroidi.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.santhera.com, e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)