

FG-3019 – Fase 2

Stati Uniti

FG-3019 è una molecola sperimentale sviluppata per contrastare la fibrosi. Questa molecola inibisce l'attività del fattore di crescita del tessuto connettivo (CTGF), una proteina che riduce la capacità delle cellule muscolari di ripararsi e promuove la deposizione del tessuto fibrotico. Il potenziale terapeutico di FG-3019 è stato valutato nel modello preclinico della DMD, il topo mdx. I risultati di questo studio hanno mostrato una riduzione della fibrosi e un aumento della funzionalità muscolare nei topi trattati. Sperimentazioni cliniche condotte con FG-3019 in pazienti affetti da fibrosi polmonare idiopatica e tumore del pancreas indicano inoltre, che la molecola è risultata ben tollerata e non ha mostrato apparentemente segnali di reazioni avverse.

In che fase di sviluppo è questo studio e qual è il suo obiettivo?

Questo è uno studio clinico di fase 2 in aperto finalizzato a valutare l'efficacia di FG-3019 in pazienti non deambulanti con distrofia muscolare di Duchenne. In particolare si valuterà l'effetto del trattamento sulla funzionalità respiratoria, sulla forza muscolare e sulla funzionalità cardiaca. Al momento lo studio è in fase di arruolamento.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge ?

Lo studio è finanziato dalla company **FibroGen** e si svolge negli Stati Uniti.

Chi potrà prendere parte allo studio?

Allo studio possono partecipare ragazzi DMD di età superiore ai 12 anni non deambulanti (in carrozzina da meno di 5 anni), in terapia con corticosteroidi da almeno 6 mesi al momento dello screening e in dosaggio stabile da almeno 3 mesi.

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

In questo studio saranno arruolati fino a 22 pazienti. Ogni paziente riceverà FG-3019 al dosaggio di 35mg/kg ogni due settimane mediante somministrazione intravenosa per un periodo di due anni.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sul sito di FibroGen www.fibrogen.com sul sito di Parent Project Onlus www.parentproject.it e su www.clinicaltrial.gov

(scheda aggiornata a gennaio 2016)