

FOR DMD - Studio per identificare il migliore regime di steroidi per la Distrofia Muscolare di Duchenne – Fase 3

Italia, Germania, Canada, USA e Regno Unito

Si tratta di uno studio nato per confrontare tre diversi regimi di somministrazione dei due corticosteroidi usati nella DMD, prednisone (prednisolone) e il deflazacort.

Questo studio vuole comprendere quale regime di corticosteroidi sia in grado di offrire una maggiore efficacia e arrecare meno effetti collaterali possibili. I risultati di questo studio serviranno a fornire informazioni più chiare ai medici, i pazienti e le loro famiglie, circa il modo migliore per assumere steroidi.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Questo è uno studio clinico di fase 3 randomizzato e in doppio cieco, ancora in corso.

Qual è lo scopo di questo studio?

Lo studio è volto ad avere una migliore comprensione dei benefici e degli effetti collaterali dei tre regimi di steroidi più comunemente prescritti nei bambini con DMD. I tipi di steroidi utilizzati per la DMD sono i corticosteroidi, questi sono farmaci simili agli ormoni naturalmente prodotti dalla corteccia delle ghiandole surrenali e agiscono riducendo l'infiammazione e sopprimendo la risposta immunitaria. Nei pazienti DMD i corticosteroidi agiscono stabilizzando, o anche migliorando, temporalmente la forza muscolare anche se occorre considerare che non tutti i pazienti rispondono al trattamento.

I corticosteroidi più comunemente prescritti nella DMD sono il prednisone (prednisolone) e il deflazacort.

Nello studio saranno messi a confronto tre diversi regimi di trattamento:

- Prednisone somministrato giornalmente
- Prednisone somministrato dieci giorni si e 10 giorni no
- Deflazacort somministrato giornalmente

Lo studio è randomizzato e in doppio cieco, per cui né i medici né i pazienti sanno quale corticosteroide viene somministrato.

I tre regimi considerati sono comunemente prescritti nei pazienti DMD e ne è già stata provata l'efficacia. I benefici osservati includono il prolungamento del tempo in cui i bambini possono continuare a camminare, una riduzione dello sviluppo della curvatura della colonna vertebrale, il mantenere più a lungo una buona funzionalità respiratoria e possibilmente una protezione nei confronti dello sviluppo di problemi cardiaci. Non sono però assenti effetti collaterali importanti. Quello che tuttavia non si sa ancora con certezza è quale sia, tra i trattamenti con corticosteroidi proposti, quello in grado di offrire una maggiore efficacia e in grado di arrecare meno effetti collaterali possibili.

Chi finanzia questo studio e dove si svolgerà?

Questo studio è finanziato dalla US National Institutes of Health (NINDS) e si svolgerà in Italia, Germania, Canada, USA e Regno Unito.

Chi può prendere parte allo studio?

Lo studio è aperto a pazienti DMD tra i 4 ed i 7 anni che non abbiano già ricevuto una terapia con steroidi (se non per inalazione o attraverso pomata).

Come si svolgerà e quale sarà la durata dello studio?

I pazienti che intendono partecipare al trial effettueranno una visita di screening presso uno dei centri di riferimento dello studio. Durante la visita, verranno illustrati i dettagli dello studio e verrà

chiesto al paziente di effettuare alcuni test che consentiranno al medico di confermare l'effettiva presenza di tutti i criteri richiesti per partecipare allo studio. Dopo la prima visita, lo studio prevede una serie di controlli medici a cadenza costante: la prima a tre mesi dall'inizio, mentre le successive ogni sei mesi, per un totale di otto-tredici visite. Le valutazioni effettuate durante ogni visita consentiranno di monitorare i benefici e gli effetti collaterali della terapia. Lo studio durerà presumibilmente dai tre ai cinque anni.

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Ulteriori informazioni si possono ottenere visitando il sito www.for-dmd.org, www.clinicaltrials.gov e il sito www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)