

GIVINOSTAT – Fase 2

Italia

Givinostat è un inibitore HDAC sviluppato da Italfarmaco. Studi effettuati dal team di ricerca guidato da Pier Lorenzo Puri, su topi modello per la distrofia muscolare, hanno dimostrato che givinostat è in grado di determinare in maniera dose-dipendente un aumento dell'area muscolare ed una riduzione dell'infiammazione e della fibrosi.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Si tratta di uno studio clinico di fase 2 iniziato a maggio 2013 e attualmente in fase di estensione.

Qual è l'obiettivo di questo studio?

L'obiettivo primario dello studio era dimostrare - attraverso l'osservazione di un aumento della componente muscolare nelle biopsie dei pazienti trattati per un anno - che Givinostat è in grado di stimolare la rigenerazione muscolare. Lo studio mirava, inoltre, a stabilire gli effetti del trattamento per 12 mesi alla dose selezionata su parametri funzionali quali il 6MWT e ad esplorare gli effetti su parametri quali MRI e biomarkers.

Chi finanzia questo studio e dove si svolgerà?

Lo studio è finanziato da Italfarmaco S.p.A. ed è condotto in 4 diversi centri clinici in Italia

Chi può prendere parte allo studio?

Allo studio hanno partecipato 20 pazienti DMD deambulanti di età compresa tra i 7 e i 10 anni.

Quando verrà completato questo studio?

La prima parte dello studio, finalizzata a identificare il dosaggio ottimale del farmaco, è iniziata a maggio 2013 ed è terminata alla fine di giugno 2013. A luglio 2013 i pazienti arruolati nella prima parte dello studio sono passati alla seconda fase che prevedeva la somministrazione di Givinostat al dosaggio precedentemente definito. Nel luglio 2014 è iniziata la fase di estensione dello studio che terminerà a luglio 2016.

Sono già disponibili risultati preliminari?

I risultati relativi ai primi 12 mesi di trattamento con Givinostat al dosaggio definito nella prima parte dello studio, sono stati resi pubblici a febbraio 2015. L'analisi delle biopsie effettuate prima e dopo un anno di trattamento con Givinostat, hanno evidenziato un aumento della quantità di muscolo presente nelle biopsie e una riduzione significativa della quantità di tessuto cicatriziale. Inoltre il trattamento riduce significativamente la necrosi tissutale e la sostituzione adiposa, altri due parametri caratteristici della progressione della malattia. Le prove funzionali hanno mostrato una relativa stabilità, anche se la numerosità dei pazienti trattati è troppo piccola per trarre conclusioni definitive. Il farmaco, infine, è risultato ben tollerato. I risultati relativi alla fase di estensione dello studio attualmente in corso, non sono ancora disponibili.

Quali sono i prossimi passi?

Italfarmaco incontrerà a breve le Autorità Regolatorie Europee e Statunitensi per definire lo studio clinico da condurre a sostegno di una domanda di registrazione in Europa e negli Stati Uniti.

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni saranno disponibili sul sito www.clinicaltrials.gov/show/NCT01761292 e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)