

HT-100 – fase 1/2

Stati Uniti

HT-100 è una forma di alofuginone idrobromuro a lento rilascio. Si tratta di una molecola che inibisce il processo fibrotico del muscolo e stimola direttamente la rigenerazione della fibra muscolare e che potrebbe essere usata in combinazione con altri approcci terapeutici.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Nel luglio del 2013 è stato avviato negli Stati Uniti uno studio clinico di fase 1/2 con HT-100 in pazienti DMD. A fine Dicembre 2013 lo studio è stato sospeso a causa di effetti collaterali importanti insorti in uno studio tossicologico condotto in parallelo su modello animale con dosaggi elevati della molecola. A giugno 2014 l'esito positivo del confronto tra l'FDA e la Company ha consentito la ripresa dello studio che al momento sta continuando a reclutare partecipanti.

Qual è lo scopo di questo studio e chi può prendere parte?

L'obiettivo dello studio è valutare la sicurezza e la tollerabilità di dosaggi crescenti diversi di HT-100 in pazienti DMD. Allo studio possono partecipare ragazzi DMD con un'età compresa tra i 6 e i 20 anni sia deambulanti che non deambulanti in terapia corticosteroidica stabile da almeno 12 mesi o non in trattamento con steroidi.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge?

La molecola è stata prodotta per la Duchenne da Akashi Therapeutics Inc (precedentemente Halo Therapeutics, LLC). Lo studio è finanziato dalla Fondazione Nash Avery, Charley's Fund, Parent Project Muscular Dystrophy, e più di altre venti fondazioni di pazienti DMD. Lo studio si svolge negli Stati Uniti.

In cosa consiste lo studio?

Lo studio prevede la somministrazioni di dosi singole o multiple crescenti della molecola, a questa fase iniziale seguirà immediatamente uno studio di estensione in aperto della durata di 12 mesi.

Sono già disponibili dei risultati preliminari?

A giugno 2015 la company ha reso noti i risultati preliminari relativi a 10 pazienti che hanno partecipato allo studio per un periodo compreso tra i 18 e i 22 mesi e che hanno assunto la molecola sperimentale, in modo continuativo, per almeno sei mesi. Questi dati indicano un miglioramento della forza muscolare nei pazienti rispetto a inizio studio e al valore previsto considerando un gruppo di controllo esterno in trattamento con steroidi. Per quanto riguarda la sicurezza, il trattamento con HT 100 è risultato fino ad ora ben tollerato e non sono stati osservati eventi avversi seri.

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni saranno disponibili sui siti www.akashirx.com, www.clicicaltrials.gov, e sul sito di Parent Project Onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)