

PF-06252616 – Fase 2

Stati Uniti, Canada, Giappone, Regno Unito, Italia

PF-06252616 è una molecola sperimentale sviluppata da Pfizer per promuovere un aumento della massa muscolare. Bersaglio della molecola è la proteina miostatina, il principale regolatore negativo della crescita del muscolo. Il legame di PF-06252616 alla miostatina, dovrebbe impedire alla proteina di bloccare l'aumento della massa muscolare consentendo quindi al muscolo di aumentare le proprie dimensioni oltre quanto normalmente consentito. PF-06252616 è stato testato in volontari sani nel corso di un trial clinico di fase 1. I risultati di questo primo studio, hanno evidenziato un aumento della massa muscolare nei partecipanti dopo un mese di trattamento.

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

Questo è uno studio clinico di fase 2 finalizzato a determinare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica di PF-06252616 nei pazienti DMD.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge ?

Lo studio è finanziato da **Pfizer** e si svolge negli Stati Uniti, Canada, Giappone, Regno Unito e in Italia. In Italia i centri clinici coinvolti sono l'Istituto G. Gaslini di Genova e l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma.

Chi potrà prendere parte allo studio?

- 1- Pazienti DMD deambulanti tra i 6 e i 9 anni di età
- 2- Pazienti in grado di eseguire il test "4 stair climb" con valutazione maggiore o uguale a 0.33 scalini/ secondo ma inferiore o uguale a 1.6 scalini/ secondo (con o senza l'impiego del corrimano)
- 3- Pazienti in terapia con corticosteroidi da almeno 6 mesi al momento della firma del consenso informato.

L'eleggibilità definitiva dei pazienti, sarà stabilita in fase di screening attraverso ulteriori valutazioni condotte dai centri clinici coinvolti nello studio.

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

Lo studio clinico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo e di tipo "dose escalation" avrà una durata totale di 96 settimane e sarà suddiviso in due parti. Tutti i partecipanti saranno assegnati a uno dei tre gruppi di trattamento previsti, due tra questi prevedono una somministrazione intravena mensile di dosi crescenti di PF-06252616, mentre il terzo riceverà con le stesse modalità il placebo. Dopo le prime 48 settimane la destinazione di trattamento dei gruppi sarà modificata: quello trattato con il placebo passerà alla somministrazione di PF-06252616 mentre dei due gruppi che aveva ricevuto la molecola sperimentale, uno sarà destinato al trattamento con il placebo e l'altro continuerà ad assumere la molecola sperimentale. Questo disegno consentirà dunque a tutti i pazienti di ricevere per almeno 48 settimane PF-06252616.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sul sito di Pfizer www.pfizer.com, sul sito di Parent Project Onlus www.parentproject.it e su www.clinicaltrial.gov

(scheda aggiornata a gennaio 2016)