

RIMEPORIDE – Fase 1

Italia, Inghilterra, Spagna, Francia, Svizzera

Il Rimeporide è una molecola sperimentale che agisce sui meccanismi che controllano la quantità di ioni sodio e calcio presenti nella cellula. Nei pazienti DMD l'assenza di distrofina causa un accumulo di calcio intracellulare che induce la morte delle cellule muscolari; contrastando l'ingresso di questo ione quindi, si limiterebbe la degenerazione.

Il Rimeporide è un inibitore di un trasportatore del sodio nella cellula. Interferendo con l'attività di questa proteina, il Rimeporide potrebbe evitare che quantità eccessive di questo ione, attivino il funzionamento di un complesso proteico che consente al calcio di entrare nella cellula.

In che fase di sviluppo è questo studio?

Si tratta di uno studio clinico di fase 1 ora in fase di reclutamento.

Qual è l'obiettivo di questo studio?

L'obiettivo primario dello studio è valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica relative alla somministrazione della Rimeporide in pazienti deambulanti con distrofia muscolare Duchenne.

Chi finanzia questo studio e dove si svolgerà?

Lo studio è finanziato dalla Fondazione EspeRare e in Italia si svolgerà presso l'Ospedale San Raffaele di Milano.

Chi può prendere parte allo studio?

Allo studio possono partecipare pazienti DMD con le seguenti caratteristiche:

- bambini con diagnosi di **Distrofia Muscolare di Duchenne** confermata geneticamente;
- bambini **di età compresa tra i 6 e i 14 anni**;
- bambini in grado di **camminare almeno 75 metri al 6MWT**;
- bambini in trattamento **stabile con steroidi** da almeno 6 mesi (ovvero da agosto 2015);
- bambini che **non hanno assunto alcun composto per uno studio clinico** (incluso placebo) nel mese precedente lo studio;

Come si svolgerà lo studio?

Lo studio clinico avrà una durata totale di quattro settimane. I pazienti saranno suddivisi in 4 sottogruppi e assumeranno tre volte al giorno il dosaggio assegnato di Rimeporide. I pazienti verranno valutati presso il centro di riferimento prima dell'inizio dello studio, e poi il giorno dell'inizio dello studio, all'inizio della seconda e della 4 settimana dello studio, e alla fine dello studio. Durante le visite verranno effettuati degli esami del sangue e delle urine, ECG ed ecocardiogramma, e spirometria. Nella visita prima dell'inizio dello studio verrà eseguito un test del cammino per 6 minuti. I pazienti verranno infine sottoposti a risonanza magnetica dei muscoli degli arti inferiori prima dell'inizio dello studio e alla quarta settimana dello studio.

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni saranno disponibili sul sito www.esperare.org e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)