

## ***SMT C1100 - Fase 1b***

*Regno Unito*

SMT C1100 è una piccola molecola, prodotta da Summit PLC per aumentare i livelli di utrofina presenti nelle cellule muscolari. L'utrofina è una proteina simile alla distrofina che normalmente è prodotta durante lo sviluppo fetale per poi diminuire e scomparire dopo la nascita. È stato dimostrato che aumentare la produzione di utrofina può compensare la mancanza di distrofina e aiutare a recuperare la funzionalità muscolare. Questa molecola ha mostrato la sua efficacia in studi preclinici e potrebbe rappresentare un valido trattamento complementare ad altri approcci terapeutici al momento in studio per la DMD e BMD.

### **In che fase di sviluppo è questo studio?**

I risultati di un trial clinico di fase 1b con dieta modificata sono stati diffusi a settembre 2015. Questo studio è stato avviato in seguito all'analisi dei risultati di un trial clinico di fase 1 precedente per verificare se, attraverso una dieta bilanciata, fosse possibile migliorare i livelli di assorbimento di SMT C1100 osservati in questo trial. I risultati di questo nuovo studio indicano che 10 dei 12 pazienti che hanno ricevuto SMT C1100 mentre seguivano le indicazioni alimentari fornite, mostrano un miglioramento nell'assorbimento della molecola. In particolare, la quantità di SMT C1100 rilevata nei pazienti, se testata in cellule muscolari cresciute in laboratorio, corrisponde a un aumento di utrofina pari a circa il 30%. Attualmente Summit sta preparando uno studio clinico di fase 2.

### **Qual è lo scopo di questo studio e come si svolgerà?**

Lo studio clinico di fase 2 mira a dimostrare l'effetto di SMT C1100 sulla produzione dell'utrofina attraverso la quantificazione dell'infiltrazione adiposa, della quantità di utrofina e della rigenerazione muscolare nelle biopsie muscolari dei partecipanti. Lo studio sarà di tipo "open label" e durerà 48 settimane.

### **Chi finanzia questo studio?**

Lo studio è finanziato da Summit PLC.

### **Chi potrà prendere parte allo studio e dove si svolgerà?**

Le informazioni disponibili indicano che lo studio di fase 2 prevede di arruolare fino a 40 ragazzi DMD tra i 5 e i 10 anni. Il trial dovrebbe essere condotto sia in Europa che negli Stati Uniti.

### **Dove posso ottenere ulteriori informazioni a proposito di questo studio?**

Le informazioni sono disponibili sul sito [www.summitplc.com](http://www.summitplc.com), sul sito [www.clinicaltrial.gov](http://www.clinicaltrial.gov) e sul sito di Parent Project onlus [www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)

*(scheda aggiornata a gennaio 2016)*