

TADALAFIL – interrotto

Italia, Argentina, Belgio, Canada, Corea, Francia, Germania, Olanda, Porto Rico, Regno Unito, Russia, Spagna, Taiwan, USA.

Tadalafil è un farmaco approvato dalla FDA per il trattamento della disfunzione erettile e per l'ipertensione arteriosa polmonare. Studi condotti in passato in topi modello per la DMD, hanno mostrato che tadalafil è in grado di migliorare la circolazione sanguigna nel tessuto muscolare. Inoltre i risultati di un trial clinico che ha coinvolto 9 pazienti BMD, hanno mostrato che una singola dose di tadalafil ha ripristinato un corretto flusso sanguigno, con effetti rilevanti e immediati in 8 pazienti su 9.

In che fase di sviluppo è lo studio?

Questo è uno studio clinico randomizzato in doppio cieco di fase 3 interrotto a gennaio 2016.

Qual è stato lo scopo di questo studio?

Lo scopo principale dello studio è stato determinare se Tadalafil può rallentare la perdita della deambulazione in ragazzi DMD. Lo studio ha valutato anche la sicurezza e l'insorgenza di eventuali effetti avversi dovuti all'assunzione del farmaco.

Chi ha finanziato lo studio e dove si è svolto?

Lo studio è stato finanziato da Eli Lilly and Company e si è svolto in tredici diverse nazioni tra cui anche l'Italia.

Chi ha preso parte allo studio?

Hanno preso parte allo studio ragazzi DMD deambulanti con un'età compresa tra i 7 e 14 anni e in terapia con corticosteroidi da almeno 6 mesi rispetto alla data in cui si è effettuato lo screening. I partecipanti dovevano avere una frazione di eiezione del ventricolo sinistro (LVEF) \geq 50%.

Quali sono stati i risultati dello studio e perché è stato interrotto?

Le analisi dei primi dati riguardanti questa fase dello studio sfortunatamente non hanno evidenziato alcun dato di efficacia della molecola nel rallentare il declino della capacità deambulatoria nel 6 Minute Walk Distance (6MWD) rispetto al placebo nelle 48 settimane di osservazione. Anche le altre valutazioni secondarie riguardanti sia la funzionalità motoria che altri test funzionali non hanno mostrato alcuna efficacia della molecola. Inoltre, alcune analisi fatte su sottogruppi di pazienti che entravano nello studio con differente gravità della patologia non hanno evidenziato alcuna efficacia sull'obiettivo primario del 6MWD.

In merito al profilo di sicurezza, gli eventi avversi osservati sono consistenti al profilo di sicurezza di tadalafil.

Poiché lo studio non ha fornito evidenza che una dose giornaliera di Tadalafil abbia efficacia nel rallentare il declino dell'abilità deambulatoria nei pazienti in trattamento rispetto al placebo, la Company ha ritenuto opportuno interrompere lo studio.

Dove posso avere maggiori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sul sito www.lilly.com sul sito www.clinicaltrials.gov/show/NCT01865084 e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a marzo 2016)