

DRISAPERSEN (KYNDRISATM) – Fase 2 e 3

Stati Uniti, Canada, Europa, Turchia, Israele, Asia e Sud America

Drisapersen (KyndrisaTM), precedentemente noto come GSK2402968 e PRO051, è un oligonucleotide antisenso (AON) di tipo 2-O-Methyl. originariamente sviluppato da Prosensa Therapeutics. A partire da fine 2014, la company responsabile dello sviluppo clinico di questa molecola è la statunitense BioMarin.

Questa molecola potrebbe rappresentare una futura terapia per quei pazienti DMD con una delezione nel gene della distrofina potenzialmente trattabile con lo skipping dell'esone 51.

Tali pazienti rappresentano circa il 13% della popolazione Duchenne.

In che fase di sviluppo è questo studio?

A partire da settembre 2014, ad un anno dall'interruzione della somministrazione di drisapersen nei pazienti in tutti gli studi clinici allora in corso, è iniziato un programma di ri-somministrazione della molecola. Attualmente sono in corso i seguenti studi:

❖ Studio DMD115501

Si tratta di uno studio clinico di estensione di fase 3 in aperto condotto negli Stati Uniti e in Canada a cui possono partecipare pazienti DMD di età superiore a 5 anni precedentemente coinvolti nello studio statunitense DMD114876 e nello studio DMD114349 negli Stati Uniti e Canada. Il trial mira a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di una somministrazione a lungo termine di Drisapersen. Il protocollo prevede una somministrazione settimanale di drisapersen al dosaggio di 6mg/kg. E' inoltre prevista una modalità di somministrazione alternativa per i pazienti che hanno riscontrato problemi di sicurezza e tollerabilità in precedenza o durante lo studio dove la somministrazione durerà 8 settimane seguita da 4 settimane di interruzione. Lo studio è attualmente in corso.

❖ Studio DMD114673

Si tratta dell'estensione in aperto di fase 2 di uno studio clinico di fase 1/2 condotto in Svezia e Belgio, che coinvolge i pazienti del precedente studio DMD 114673 svolto nelle prime fasi di sviluppo di drisapersen e finalizzato ad identificare il dosaggio ottimale della molecola. Questo studio mira a valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità del trattamento a lungo termine e la sicurezza, tollerabilità e farmacocinetica della somministrazione per via intravenosa. Lo studio è attualmente in corso.

❖ Studio BMN051-302

Si tratta di un nuovo studio globale di fase 3 a cui possono partecipare pazienti DMD di età superiore a 5 anni precedentemente coinvolti negli studi DMD114118 e DMD114349. Lo studio mira a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di una somministrazione a lungo termine per via sottocutanea di Drisapersen e la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di una somministrazione a lungo termine per via intravenosa di Drisapersen. Lo studio sta iniziando il reclutamento dei pazienti.

BioMarin prevede di avviare nel 2016 due ulteriori studi con drisapersen, uno nella popolazione dei giovani pazienti e l'altro in quella dei non deambulanti. Inoltre, la company, sta anche pianificando uno studio che preveda la somministrazione intravenosa della molecola al fine di fornire un'opzione di trattamento per coloro che dovessero non tollerare la somministrazione sottocutanea.

Chi finanzia questi studi?

Tutti gli studi sono finanziati da BioMarin.

Quali saranno i prossimi passi?

Parallelamente ai programmi di ri-somministrazione di drisapersen, BioMarin sta dialogando con le agenzie regolatorie statunitensi e europee ai fini dell'autorizzazione alla commercializzazione della molecola.

Negli Stati Uniti la richiesta per un nuovo farmaco (NDA) per drisapersen ha ottenuto dall'FDA una lettera di risposta completa che indica che la richiesta nella sua forma attuale non è pronta per un'approvazione. Proseguirà dunque il dialogo con l'autorità regolatoria per stabilire i prossimi passi.

In Europa l'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) sta revisionando la richiesta per l'autorizzazione alla commercializzazione (MAA) per drisapersen per il trattamento della DMD trattabile con lo skipping dell'esone 51. L'opinione finale da parte della commissione per i medicinali per l'uso umano (CHMP) dell'EMA è attesa per la prima metà del 2016.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni in merito a questo studio?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.biomarin.com, www.clinicaltrials.gov e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it

(scheda aggiornata a gennaio 2016)