



SRP-5051 – Fase 1

Stati Uniti

SRP-5051 è un oligonucleotide antisenso (AON) che impiega un morfolino fosfodiammidato (PMO), a cui è stato aggiunto un peptide di penetrazione cellulare, per indurre lo skipping dell'esone 51 del gene della distrofina. La molecola risultante, definita PPMO, è stata sviluppata da Sarepta Therapeutics con l'obiettivo di migliorare l'efficienza di exon skipping attraverso una maggiore capacità di penetrazione nei tessuti. Questa strategia è ideata per il trattamento di 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.

Quali sono i dati preliminari?

Gli studi pre-clinici condotti in animali modello hanno evidenziato che la maggiore capacità dei PPMO, rispetto ai PMO, di penetrare all'interno della cellula determina una maggiore efficienza di produzione di distrofina. Una serie di dati suggeriscono che la chimica PPMO potrebbe permettere di raggiungere tutti gli organi bersaglio e di avere un effetto più prolungato nel tempo con la conseguente possibilità di dover ricorrere a somministrazioni meno frequenti rispetto ai PMO.

In che fase di sviluppo è questo studio e qual è l'obiettivo?

Questo è uno studio clinico di fase 1, in aperto, finalizzato a valutare la sicurezza, la tollerabilità e la farmacocinetica di 5 diversi dosaggi di SRP-5051. I risultati di questo studio serviranno a definire il dosaggio della molecola da utilizzare in un successivo trial multicentrico, in doppio cieco e controllato con il placebo, che valuterà l'efficacia del trattamento.

Chi può prendere parte allo studio?

Il reclutamento è attualmente in corso; e saranno arruolati circa 30 pazienti con una diagnosi di distrofia muscolare di Duchenne, di età superiore ai 12 anni, in terapia stabile con steroidi da almeno 3 mesi, e con una mutazione nel gene della distrofina trattabile con lo skipping dell'esone 51.

Come si svolge lo studio?

Lo studio prevede una singola somministrazione per via endovenosa di SRP-5051, a uno dei 5 dosaggi in studio, in ciascuno dei partecipanti.

Chi finanzia questo studio e dove si svolge?

Lo studio è finanziato da Sarepta Therapeutics e si svolge in 3 centri clinici negli Stati Uniti.

Dove posso ottenere ulteriori informazioni?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.sarepta.com, www.clinicaltrials.gov (NCT03375255) e sul sito di Parent Project onlus www.parentproject.it