

GIVINOSTAT per la BMD - Fase 2 | Italia, Olanda

Givinostat è un inibitore delle istone deacetilasi (HDAC) e agisce riattivando la corretta cascata di eventi cellulari e molecolari che permette al tessuto muscolare di rispondere al danno con un meccanismo rigenerativo. È un farmaco ad uso orale sviluppato dall'azienda farmaceutica italiana Italfarmaco. Givinostat ha ottenuto la designazione di farmaco orfano sia dall'EMA in Europa che dalla FDA negli Stati Uniti. La FDA ha inoltre concesso la "Fast Track designation" per givinostat per la DMD.

Quali sono i dati preliminari?

Sulla base dei risultati ottenuti dal gruppo di ricerca di Pier Lorenzo Puri con gli studi preclinici su topi modello per la distrofia muscolare, che hanno dimostrato la capacità di givinostat di determinare un aumento dell'area muscolare e una riduzione dell'infiammazione e della fibrosi, nel 2013 è iniziato il percorso di sviluppo clinico di givinostat per la Duchenne. I buoni risultati ottenuti dai trial clinici di fase 2 su pazienti DMD hanno permesso di avviare, a fine 2017, una sperimentazione clinica anche per la distrofia muscolare di Becker.

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

Si tratta di uno studio clinico di fase 2 randomizzato, in doppio cieco controllato con placebo per la somministrazione di givinostat per 12 mesi. L'obiettivo principale dello studio è valutare gli effetti istologici di givinostat, ovvero l'impatto del trattamento sulla struttura e composizione del tessuto muscolare dei pazienti Becker. Il trial valuterà anche la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di givinostat.

Chi può prendere parte allo studio?

Saranno arruolati 48 pazienti con una diagnosi di distrofia muscolare di Becker, di età compresa tra i 18 e i 65 anni, deambulanti, che non siano in trattamento farmacologico o, se sono in trattamento con steroidi e/o farmaci cardiaci, che lo siano in maniera stabile da almeno 6 mesi.

Come si svolge lo studio e dove?

I pazienti arruolati vengono assegnati, in maniera casuale, al gruppo che riceverà givinostat o il placebo in rapporto 2:1 (i pazienti che riceveranno il farmaco saranno il doppio di quelli che riceveranno il placebo) e riceveranno il trattamento per via orale due volte al giorno per 12 mesi. Il trial prevede due biopsie muscolari che saranno eseguite in tutti i partecipanti a inizio studio e al termine dei 12 mesi di trattamento. Lo studio si svolge in Italia, presso l'Ospedale Maggiore Policlinico di Milano e in Olanda.

Quali sono i risultati dello studio?

Lo studio è in corso. Il reclutamento dei pazienti, iniziato alla fine del 2017, è terminato a dicembre 2019 includendo 51 pazienti nello studio. I primi risultati del trial sono attesi per il primo trimestre del 2022.

Chi finanzia questo studio?

Lo studio clinico è sponsorizzato da Italfarmaco con il sostegno della Regione Lombardia nell'ambito del programma operativo regionale 2014-2020 obiettivo "Investimenti in favore della crescita e dell'occupazione".

Dove posso ottenere ulteriori informazioni?

Le informazioni sono disponibili sui siti www.italfarmaco.com, www.clinicaltrials.gov (NCT03238235) e sul sito di Parent Project aps www.parentproject.it.

