

Firma ReveraGen BioPharma Inc zahajuje 2.fázi klinické studie v rámci projektu VISION-DMD – vývoj nové léčby pro svalovou dystrofii typ Duchenne

Byl zahájen nábor do 2a fáze klinické studie léčby Vamorolonem (VPB15) pro léčbu svalové dystrofie typ Duchenne (DMD). Druhá fáze klinické studie je sponzorována firmou ReveraGen BioPharma. Jedná se o otevřenou studii s postupně navyšující dávkou VPB15, na kterou bude navazovat 2a prodloužená studie. Fáze 2a je součástí inovativního programu vývoje nových typů kortikoidů u DMD.

Vamorolone je steroid, který na rozdíl od tradičních steroidů, jako je prednison či deflazacort, vykazuje méně nežádoucích účinků při zachování své efektivní složky. Během 2a fáze klinické studie bude skupina 48 DMD chlapců, kteří zatím nebyli léčeni steroidy a jsou ve věku 4 až 7 let, rozdělena na 4 podskupiny dle dávky Vamorolonu (0.25 mg/kg, 0.75 mg/kg, 2.0 mg/kg, and 6.0 mg/kg). Chlapci v každé skupině budou užívat Vamorolone jednou denně po dobu 2 týdnů, včetně následné 2 týdenní pauzy. Účastníci studie poté budou přeřazeni do 2a prodloužené studie, kde budou pokračovat v léčbě stejnou dávkou VPB15 po dobu 24 týdnů.

Hlavním cílem 2a fáze klinické studie je hodnocení bezpečnosti, snášenlivosti a farmakokinetiky Vamorolonu. Hlavním cílem 2a prodloužené studie je pak hodnocení dlouhodobé bezpečnosti, snášenlivosti a účinnosti tohoto preparátu. Účinnost léčby bude hodnocena Time to Stand testem, testem, kdy se měří čas nutný k vertikalizaci pacienta s DMD. Vedlejší účinky budou měřeny pomocí body mass indexu (BMI). Obě studie jsou výjimečné novými metodami farmakodynamiky a použitými biomarkery účinku. Nábor pacientů bude probíhat na pracovištích v rámci sítě Neuromuskulárních výzkumných Center, tzv. Cooperative International Neuromuscular Research Group (CINRG), v USA, Kanadě, Izraeli, Velké Británii, Švédsku a Austrálii. Více informací naleznete na stránkách studie <http://vision-dmd.info/2a-trial-information/>.

Vývoj Vamorolonu jako alternativy ke klasickému glukokortikoidu používaného u DMD je financován filantropií, mezi které patří pacientské organizace, dále granty EU a USA. Klinický program VISION –DMD zahrnuje fázi 2a a 2a prodlouženou studii a fázi 2b a 2b prodlouženou studii. Fáze 2a je sponzorována grantem organizace - National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) of the National Institutes of Health. Příprava studie 2a byla sponzorována organizací - National Institute of Arthritis, Musculoskeletal, and Skin Diseases (NIAMS) of the National Institutes of Health USA.

Zahájení fáze 2b je plánováno na druhou polovinu roku 2017. Tato fáze bude částečně sponzorována grantem Evropské Unie, programem Horizont 2020. Fáze I klinické studie na zdravých dospělých byla sponzorována organizací - Muscular Dystrophy Association z USA a 3 organizacemi Velké Británie (Joining Jack, Duchenne Children's Trust, Duchenne Research Foundation). Preklinické testy byly sponzorovány organizacemi: DMD foundations, vládou USA, Foundation to Eradicate Duchenne (USA); Parent Project Muscular Dystrophy (USA); Muscular Dystrophy Association (USA); Action Duchenne (UK), Save Our Sons (Aus); Michael's Cause (USA), Pietro's Fight (USA), Alex's Wish (UK), Ryan's Quest (USA); granty USA od National Institutes of Health; a Department of Defense CDMRP.

Firma ReveraGen BioPharma, hlavní sponzor studie, je soukromou farmaceutickou firmou se zaměřením na nervosvalové nemoci. Hlavní látkou ve vývoji je Vamorolone, nová protizánětlivá látka pro léčbu DMD.

Konsorcium VISION DMD:

Jedná se o mezinárodní sdružení v rámci USA a Evropy, které je řízeno firmou ReveraGen BioPharma a koordinováno Universitou v Newcastleu (skupina prof. Kate Bushby). Cílem tohoto konsorcia je zajištění cílů programu VISION -DMD. Mezi členy konsorcia dále patří United Parent Projects Muscular Dystrophy (UPPMD) global patient advocate group; the Cooperative International Neuromuscular Research Group (CINRG) vedená pí. Paulou Clemens z Pittsburské University podporované organizací Therapeutic Research in Neuromuscular Disorders Solutions (TRINDS) management team; the European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN), Fakultní nemocnice v Motole a organizace Ceratium Limited. Více informací na stránkách <http://vision-dmd.info/consortium/>.

Pro více informací je možné kontaktovat

Eric P. Hoffman, PhD, CEO, ReveraGen Biopharma, Inc. ericphoffman@gmail.com

Informace o projektu naleznete na stránkách <http://vision-dmd.info/>



Vision-DMD: Projekt obdržel grantovou podporu EU v rámci projektu Horizont 2020, program výzkum a inovace, číslo grantu No 667078 a grantovou podporu USA Národního Institutu Zdraví, číslo grantu NINDS R44 NS095423.



www.reveragen.com



www.ceratium.eu



www.newcastle-muscle.org



www.ecrin.org



www.uppmd.org



www.fnmotol.cz



www.cinrgresearch.org



www.trinds.com