

Malattia di Pompe, chaperone farmacologico migliora la funzione motoria

Amicus therapeutics announces positive functional data from initial patients in pompe phase 1/2 study

(comunicato stampa)

Amicus Therapeutics ha annunciato nel comunicato stampa aziendale i risultati dello studio di Fase I/II (ATB200-02) sulla malattia di Pompe, riguardante il farmaco sperimentale ATB200/AT2221.

Sono stati ottenuti dati funzionali positivi per i pazienti coinvolti: progressi sia nel test del cammino in sei minuti, che nelle funzioni muscolare e polmonare. Il farmaco sotto esame si chiama ATB200/AT2221 ed è un nuovo trattamento basato sulla combinazione di due principi attivi: il primo, ATB200, è una terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a base di alfa-glucosidasi acida umana ricombinante (rhGAA), con strutture ottimizzate di carboidrati, in particolare il mannosio-6 fosfato (M6P), per migliorarne l'assunzione; il secondo è AT2221, un chaperone farmacologico. Negli studi preclinici, ATB200 è stato associato ad aumentati livelli di enzima tissutale e a ridotti livelli di glicogeno nel muscolo, risultati che sono ulteriormente migliorati quando i due farmaci sono stati somministrati contemporaneamente.

Nello studio in questione, Amicus Therapeutics sta valutando sicurezza, tollerabilità, farmacocinetica e farmacodinamica dei due principi attivi in combinazione.

I 10 pazienti che hanno completato sei mesi di trattamento hanno mostrato miglioramenti nel 'test del cammino in sei minuti' (6MWT): la distanza media percorsa è aumentata di 52 metri nei pazienti (2 su 2) mai sottoposti a terapia enzimatica sostitutiva (ERT) e di 38 metri in 6 su 7 di quelli che sono passati al farmaco ATB200/AT2221 da precedente ERT. Positivi anche i dati relativi alle altre misure della funzione motoria e alla funzione muscolare (migliorata in 9 pazienti su 10). Inoltre, nella maggioranza dei pazienti è stata evidenziato il progresso o la stabilità della funzione polmonare, misurata secondo la 'capacità vitale forzata' (FVC).

Coerentemente con i precedenti risultati presentati al WORLDSymposium 2017, i pazienti trattati con ATB200/AT2221 continuano a mostrare progressi nei biomarcatori di danno muscolare e substrato di malattia.

Gli eventi avversi sono stati generalmente lievi e transitori: il farmaco, inoltre, non ha mostrato reazioni associate all'infusione dopo 200 somministrazioni.

Questi risultati funzionali preliminari sono molto incoraggianti e suggeriscono un progresso clinicamente significativo per i pazienti. Sono attesi ulteriori nel terzo trimestre di quest'anno.

A quanto risulta, nessun altro agente sperimentale ha mostrato simili risultati positivi in una così vasta gamma di pazienti in questa fase di sviluppo.

Se l'insieme completo di tali dati sarà conforme a queste misure, ciò potrebbe essere molto significativo per i nostri pazienti.