



www.aig-aig.it

AIG

ASSOCIAZIONE ITALIANA GLICOGENOSI

Malattia di Pompe:

“Nuovi risultati positivi per la terapia in combinazione”

Il chaperone AT2220 unito alla terapia sostitutiva migliora l'assorbimento enzimatico

USA - Durante il *Lysosomal Disease Network WORLD Symposium* svoltosi ad Orlando, Florida, l'azienda biofarmaceutica **Amicus Therapeutics** ha annunciato i risultati positivi degli studi clinici e preclinici dell'uso del **chaperone farmacologico AT2220** (duvoglustat HCl) **in combinazione con la terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per la malattia di Pompe** ed altre patologie lisosomiali. Una buona notizia per Amicus che solo a gennaio aveva visto arrivare risultati negativi da una sperimentazione sulla malattia di Fabry.

Secondo i risultati dello Studio 010 l'**utilizzo di AT2220 in combinazione alla ERT aumenta l'attività enzimatica di GAA** nel tessuto muscolare, rispetto alla sola somministrazione della terapia enzimatica. Il chaperone sarebbe dunque in grado di aumentare l'attività ERT e l'assorbimento tissutale ma anche di ridurre in modo significativo l'immunogenicità delle terapie sostitutive.

Sulla base di questi risultati, Amicus ha intenzione di **avviare un nuovo studio clinico per la valutazione di una formulazione per via endovenosa di AT2220-IV** in combinazione con Myozyme / Lumizyme. Il nuovo farmaco è stato progettato per migliorare la farmacocinetica rispetto alla formulazione orale. Lo studio clinico valuterà dosi multiple di AT2220-IV co-somministrato con Myozyme / Lumizyme ogni due settimane nei pazienti affetti da malattia di Pompe.

Per ulteriori informazioni [clicca qui](#).

Fonte: O.Ma.R. - Marzo 2013