

Malattia di Pompe, il farmaco neoGAA pronto per la sperimentazione di Fase III

(Sanofi Genzyme Presents Results from Phase 1/2

Study of Investigational Second-Generation Therapy for Pompe Disease Results support beginning pivotal Phase 3 clinical trial in Q2 2016)

La glicogenosi di tipo 2 (GSD2), comunemente conosciuta come malattia di Pompe, è un disturbo neuromuscolare progressivo, debilitante, causato da un difetto genetico che comporta carenza o disfunzione dell'enzima lisosomiale alfa-glucosidasi acida (GAA). Le persone colpite da questa patologia devono affrontare una serie di conseguenze invalidanti come la compromissione della capacità di camminare o l'insorgenza di difficoltà respiratorie.

Genzyme, una compagnia di Sanofi, ha comunicato i positivi risultati di sicurezza ed efficacia ottenuti da NEO1, uno studio clinico di Fase I/II in cui la terapia sperimentale neoGAA è stata valutata per il trattamento della malattia di Pompe.

Sulla base di questi dati, presentati in occasione del WORLDSymposium 2016, Genzyme ha annunciato che, entro la prima metà di quest'anno, è previsto l'inizio della procedura di reclutamento dei pazienti per il nuovo studio di Fase III su neoGAA.

NeoGAA è una terapia di sostituzione enzimatica in via di sviluppo per il trattamento della malattia di Pompe. Il farmaco è a base di alglucosidasi alfa di seconda generazione ed è progettato per una migliore affinità con i recettori M6P, presenti sulle cellule muscolari, e per un'azione più mirata ed efficace rispetto alle formulazioni tradizionali di alglucosidasi alfa.

Nello studio NEO1, multicentrico e multinazionale, 24 pazienti con malattia di Pompe a esordio tardivo, precedentemente trattati o meno con alglucosidasi alfa, sono stati sottoposti a tre diverse dosi di neoGAA (5, 10 o 20 mg/kg), somministrate ogni 14 giorni per un periodo di tempo complessivo di 24 settimane. Tale studio ha valutato: efficacia, dose massima, tollerabilità, farmacocinetica, farmacodinamica della terapia neoGAA.

Il farmaco si è dimostrato sicuro e ben tollerabile a tutti i livelli di dosaggio utilizzati. I più frequenti eventi avversi correlati al trattamento sono stati dolore muscolare, mal di testa e affaticamento. Dal punto di vista dell'efficacia, la dose massima di neoGAA ha comportato diversi miglioramenti in relazione alla capacità respiratoria e all'attività motoria dei pazienti trattati.