

Sperimentazione Regeneron LUMINA-1

REGENERON

REGN2477 è un farmaco sperimentale per la FOP prodotto da Regeneron. REGN2477 è un anticorpo anti Activina A, che si ritiene che svolga un ruolo significativo nello sviluppo dell'ossificazione eterotopica (OE). Bloccando l'Activina A, REGN2477 può rallentare o impedire la formazione di nuova OE.

L'obiettivo primario di questa sperimentazione di Fase 2 è di valutare la sicurezza, la tollerabilità e gli effetti di REGN2477 sulla formazione di OE in adulti, maschi e femmine, con FOP.

REGN2477 ha completato uno studio di Fase 1 che ha valutato la sicurezza del farmaco in volontari sani. In seguito allo studio di Fase 1 e ai risultati preclinici ottenuti su animali, Regeneron inizierà a valutare REGN2477 in pazienti con FOP. Regeneron ha ricevuto dalla Food & Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti un percorso di designazione accelerata (Fast Track Designation) per REGN 2477. Questo percorso accelerato consente alla compagnia farmaceutica di avere più frequenti incontri con la FDA e di avere la possibilità di un'approvazione accelerata/revisione prioritaria (revisione in un periodo di 6 mesi).

La sperimentazione di Fase 2 di REGN2477 è uno studio multi nazionale con gruppo di controllo trattato con placebo (nessun farmaco attivo). I soggetti arruolati riceveranno REGN2477 o placebo una volta al mese mediante infusione endovenosa per 6 mesi. Successivamente tutti i partecipanti riceveranno REGN2477 per 6 mesi.

I dati ottenuti nella Fase 2 possono essere usati a sostegno dell'inizio di uno studio di Fase 3 per REGN2477.

Maggiori informazioni su questa sperimentazione presso N.I.H. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov)

Domande richieste frequentemente

Chi ha i requisiti per partecipare alla sperimentazione di Fase 2 di Regeneron?

La sperimentazione di Fase 2 è aperta a uomini e donne di età tra 18 e 60 anni che hanno una diagnosi clinica di FOP con la mutazione classica (mutazione R206H). I partecipanti dovranno aver manifestato un'attività della malattia nell'anno precedente alla visita di screening. Si intende come attività di malattia episodi di dolore, gonfiore, rigidità e altri segni e sintomi associati alle acutizzazioni (flare-up) della FOP; o peggioramento della mobilità delle articolazioni, o progressione della OE evidenziata da radiografie (aumento nella sede o nel numero di lesioni di OE) associate o meno a episodi di flareup. Criteri di esclusione aggiuntivi riguardanti la storia clinica, l'uso di farmaci, allergie, e valori di laboratorio si trovano presso clinicaltrials.gov.

I bambini possono partecipare alla sperimentazione di Fase 2 di Regeneron?

Questa sperimentazione non è aperta a soggetti di età inferiore ai 18 anni. Molti trattamenti sono sperimentati prima in soggetti adulti per valutarne la sicurezza prima della sperimentazione nei bambini.

Quante persone possono partecipare alla sperimentazione?

Saranno arruolati allo studio di fase 2 un massimo di 40 soggetti prevedendo che 24 di essi manifestino episodi di OE attiva e quindi potranno entrare nella sperimentazione.

Quanti assumeranno il placebo rispetto al farmaco in sperimentazione?

Metà o fino a un massimo di 20 soggetti assumeranno il farmaco REGN2477 e metà il placebo (cioè nessun farmaco attivo) per i primi 6 mesi. Alla fine dei primi 6 mesi tutti i partecipanti avranno l'opportunità di assumere REGN2477. Quindi, metà dei partecipanti allo studio riceveranno REGN2477 per 12 mesi mentre l'altra metà per 6 mesi (dopo 6 mesi di placebo).

Quanto durerà la sperimentazione di fase 2 di Regeneron?

Questa sperimentazione è pianificata in due periodi consistenti di un periodo di 6 mesi di trattamento con placebo-farmaco (periodo 1) seguito da un periodo di trattamento in cui tutti i partecipanti riceveranno il farmaco (periodo 2). Alla fine del periodo 2 ci sarà un periodo di controllo (follow-up) di 24 mesi, che porterà la lunghezza della sperimentazione a 76 settimane.

Quali centri e località saranno coinvolti nella sperimentazione di REGN2477?

Regeneron è attualmente nella fase di definizione dei centri che parteciperanno allo studio di Fase 2. Le ultime informazioni sui centri clinici potranno essere reperite presso clinicaltrials.gov.

Come sarà somministrato REGN2477 ai pazienti con FOP?

REGN2477 viene somministrato per infusione endovenosa ogni 4 settimane.

Quali dati clinici esistono attualmente per REGN2477?

La sicurezza di REGN2477 è stata studiata in volontari sani che non sono affetti da FOP. La sperimentazione di Fase 2 sarà il primo studio di REGN2477 in soggetti con FOP.

Quali sono gli impegni di viaggio e i requisiti per partecipare alla sperimentazione?

I soggetti che partecipano alla sperimentazione di REGN2477 riceveranno ulteriori informazioni sugli impegni di viaggio e i rimborsi per la partecipazione allo studio.

Chi devo contattare se sono interessato a sapere di più sulla sperimentazione di Regeneron?

Fai in modo che il tuo medico si metta in contatto con Regeneron con una delle modalità riportate sotto:

- Sito Web di Regeneron per ricercatori e medici che si occupano di FOP: ActivinAandFOP.com
- Linea dedicata per informazione medica:
 - Stati Uniti: 1-844-MID-REGN (1-844-643-7346)
 - Internazionale: +1-510-496-3637
 - Email: medical.information@regeneron.com