



Aggiornamento N. 18 sul programma clinico AIDNPC *(arimoclomol nel trattamento della malattia di Niemann-Pick di tipo C)*

Bollettino di informazione provvisorio (a seguito della teleconferenza del 28 dicembre)

RIEPILOGO

- Studio 001: Stato
- Studio 002: Stato e tempistiche
- Uno strumento di valutazione NPC-CSS semplificato a 5 domini
- Orphazyme interverrà al WORLDSymposium di San Diego



Il programma della sperimentazione clinica AIDNPC consiste di due studi:

- ***Studio osservazionale "-001": studio completato.***
- ***Studio interventistico "-002": reclutamento chiuso.***



Studio 001: Stato

Lo studio è stato completato recentemente, a maggio 2017. È stato arruolato un totale di 36 pazienti, in 12 centri distribuiti in 8 paesi.

L'obiettivo principale dello studio 001 era di caratterizzare il profilo di progressione della malattia nei singoli pazienti mediante misurazioni cliniche, biologiche e di qualità della vita acquisite in prospettiva, oltre che le informazioni storiche sulla malattia raccolte dalle cartelle mediche dei pazienti.

Il database dello Studio 001 è stato chiuso e l'analisi dei dati è in corso. I risultati di questo studio di storia naturale fra i pazienti NPC, che ha l'esclusivo punto di forza di essere uno studio prospettico allineato con la struttura dello Studio 002, saranno presentati nel corso di vari meeting durante il prossimo semestre e serviranno per definire le aspettative circa i risultati dello Studio 002. Per es. i risultati costituiranno le fondamenta di una baseline in parte della successiva analisi dello Studio 002.

Studio 002: Stato e tempistiche

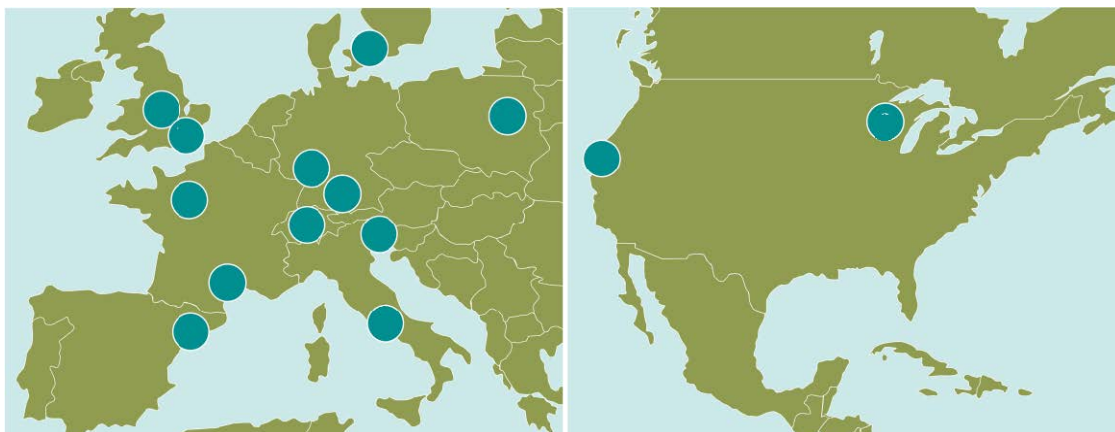
L'ultimo paziente dello Studio 002 (una sperimentazione di fase 2/3) è stato arruolato nel maggio 2017: sono così 50 i pazienti arruolati e randomizzati, di cui 27 pazienti transitati dallo Studio 001. Ci aspettiamo di avere i risultati di questo studio nell'autunno del 2018. Una volta che ciascun paziente abbia completato la parte in cieco dello studio, gli è offerta la possibilità di partecipare all'estensione in aperto (solo arimoclomol) dello studio.

Allo studio "002" partecipano i seguenti centri:

Copenaghen,
Danimarca
Birmingham, Regno
Unito
Great Ormond St,
Regno Unito

Mainz, Germania
Monaco, Germania
Parigi, Francia
Montpellier, Francia
Barcellona, Spagna
Varsavia, Polonia

Udine, Italia
Roma, Italia
Rochester, MN-USA
Oakland, CA-USA



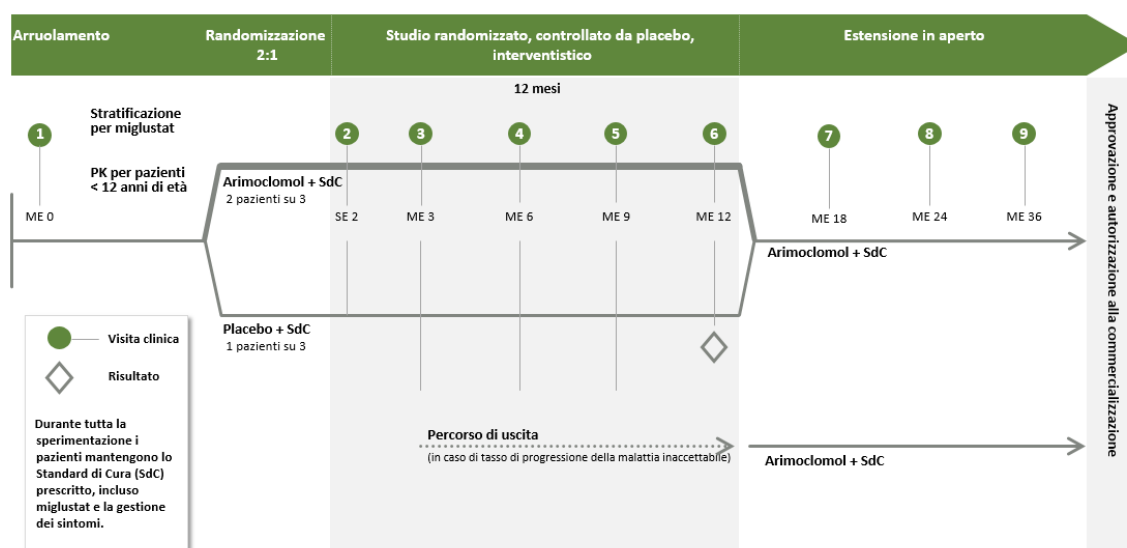
Uno strumento di valutazione NPC-CSS semplificato a 5 domini Orphazyme ha completato la convalida di uno strumento di valutazione NPC-CSS semplificato a 5 domini, con l'intenzione di migliorare in futuro il tracking e la valutazione dei pazienti NPC. I domini di questo strumento di valutazione NPC-CSS a 5 domini sono deambulazione, capacità di movimenti fini, capacità di inghiottire, parola e cognizione. Questo strumento è utilizzato per la valutazione clinica dei pazienti dello Studio 002.

Orphazyme interverrà al WORLDSymposium di San Diego
Orphazyme sarà presente e interverrà al 14° WORLDSymposium™ annuale 2018 a San Diego (5-9 febbraio 2018).

Panoramica dello schema clinico

Il seguente grafico illustra lo schema dello studio "002", inclusi il numero e le tempistiche delle visite dei pazienti presso i centri. È previsto un percorso di uscita per i pazienti che dovessero manifestare un tasso di progressione della malattia inaccettabile.

Schema dello studio CT-ORZY-NPC-002



Promuoviamo la diffusione delle informazioni precedenti presso la comunità dei pazienti.

Prossima teleconferenza:

La prossima teleconferenza per AIDNPC è prevista per giovedì 29 marzo 2018, 15:00 EDT.