



Trials clinici in corso presso la UO di Genetica Medica

In collaborazione con
UO di Chirurgia Pediatrica

Staff:

Responsabile dello studio:

Prof.ssa Ferlini Alessandra

(Direttore UO e Sezione di Genetica Medica)

e-mail: fla@unife.it

Dr. Franchella Andrea

(Direttore UO Chirurgia Pediatrica)

Collaboratori:

- **Dr.ssa Armaroli Annarita** (medico in formazione specialistica - *Genetica Medica*): organizzazione e clinica
- **Dr. Antonio Mauro** (medico in formazione specialistica - *Genetica Medica*). Organizzazione e clinica
- **Dr. Cosimo Bleve** (assegnista *Genetica Medica* in collaborazione *Chirurgia Pediatrica*): clinica
- **Dr.ssa Maria Luisa Conighi** (assegnista *Genetica Medica* in collaborazione *Chirurgia Pediatrica*): clinica
- **Dr.ssa Valeria Tugnoli** (dirigente medico - *Neurologia*): clinica
- **Dr.ssa Elena Michelini** (dirigente medico - *Chirurgia Pediatrica*): clinica
- **Prof. Stefano Caracciolo** (professore ordinario in psicologia clinica): supporto psicologico
- **Dr.ssa Maria Carbonara** (psicologa - *UO Psicologia Clinica*): supporto psicologico
- **Dr.ssa Maria Sofia Falzarano** (biologo - *UO Genetica Medica*): laboratorio

2 studi clinici attualmente in corso, con sponsor:

1) Studio di fase I/IIa -
sponsor *Prosensa Therapeutics BV (NL)*

2) Studio clinico di fase III -
sponsor *Glaxo Smith Kline*

www.clinicaltrials.gov

1) Titolo dello studio:

"STUDIO DI FASE I/II_a, APERTO, A DOSI SCALARI VOLTO ALLA VERIFICA DI EFFICACIA, SICUREZZA, TOLLERABILITA' E PROFILO FARMACOCINETICO DI MULTIPLE SOMMINISTRAZIONI SOTTOCUTANEE ED INTRAVENOSE DI PRO044 IN PAZIENTI AFFETTI DA DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE"

Approvato ISS e comitato etico Ferrara
13.4.2010; 15.5.2010; 24.6.2010

**Trial clinico che utilizza oligonucleotidi antisenso
(AONs) mediante approccio di exon skipping**

Codice studio: PRO044-CLIN01

Farmaco in studio: PRO044 (skipping esone 44)

Trial sistemico

**Studio multicentrico: (4 centri in Europa)
Italia, Belgio, Svezia, Olanda**

Inizio: Aprile 2010

In corso (coorte 9)



PROSENSA

Centro Italiano Università di Ferrara (UNIFE - www.ospfe.it) ed Az. Ospedaliera S. Anna (OSPFE - www.ospfe.it)

Pazienti finora arruolati e trattati 7

Età: 5-16 anni

Durata del trial 22 settimane



PROSENSA

2) Titolo dello studio

«AN OPEN LABEL EXTENSION STUDY OF THE LONG TERM SAFETY, TOLERABILITY AND EFFICACY OF GSK 2402968 IN SUBJECTS WITH DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY»

Fase di estensione del precedente studio DMD114044

Approvazione ISS seduta del 30/06/2011 e successivi emendamenti.

Trial clinico che utilizza oligonucleotidi antisenso (AONs) mediante approccio di exon skipping

Codice studio : DMD114349

Fase di estensione di precedente studio di fase III DMD 114044

Farmaco in studio: GSK 2402968
(skipping esone 51)

Trial sistemico



Studio clinico multicentrico mondiale - 19
paesi coinvolti
164 pazienti arruolati nel mondo

5 centri Italiani :
Università di Ferrara, Ospedale Bambin
Gesù (Roma), Policlinico Gemelli (Roma),
Università di Messina, Università di Milano

Pazienti trattati in Italia 25, di cui 5 presso
UO di Genetica Medica di Ferrara

Contatti:

Segreteria
della Sezione ed UO di Genetica Medica:
Tel: 0532-974403

Per info, e-mail: trialsgeneticamedica@unife.it

