



ORGANIZZAZIONE SINDROME DI ANGELMAN

Via Bressa n° 8 31100 **TREVISO**

Tel. **0422411132** Fax. **0422319571**

C.F. **94047800266**

<http://www.sindromediangelman.org>

Email: [orsa@sindromediangelman.org](mailto:orsa@sindromediangelman.org)



*Estratto con note curato dalla ref. scientifico ORSA dott.ssa Ilaria Tonazzini Istituto Nanoscienze-CNR @NEST (National Enterprise for nanoScience and nanoTechnology), Pisa del report OVID pubblicato al link:*

<https://www.biopharmadive.com/news/ovids-angelman-syndrome-drug-shows-mixed-results-in-phase-2/529433/>,

Ovid Agosto 2018

La Ovid Therapeutics ha rilasciato lunedì un comunicato sui dati su uno studio clinico di fase 2 per il principale farmaco dell'azienda, OV101, testato come trattamento per la sindrome di Angelman. Mentre il farmaco ha raggiunto il suo endpoint primario in termini di sicurezza (*cioè il farmaco non ha effetti collaterali importanti*), i risultati sull'efficacia sono risultati più ambigui. I dati hanno mostrato un miglioramento statistico rispetto a un placebo (*placebo= viene somministrata una pillola vuota, senza nessun principio attivo*) ma il farmaco non ha registrato un vantaggio significativo in altre risposte più specifiche, come nel comportamento, sonno e andatura.

In dettaglio: Lo studio di fase 2, denominato STARS, ha suddiviso 88 pazienti in tre gruppi di trattamento: somministrazione una volta al giorno, due volte al giorno e placebo. I medici hanno analizzato i pazienti dopo 12 settimane nei 13 siti di prova situati negli Stati Uniti e in Israele. L'azienda ribadisce che l'endpoint primario era semplicemente il test per la sicurezza del farmaco. Lo studio ha raggiunto questo obiettivo con significatività statistica. Gli endpoint secondari erano concentrati sull'efficacia in vari parametri clinici. La OVID riporta che il farmaco ha mostrato un miglioramento in parametri globali di miglioramento clinico (CGI-I), una metrica che consente ai medici di prendere in considerazione una varietà di sintomi clinici. Per il CGI-I, il 67% dei pazienti ha visto qualche forma di miglioramento con un dosaggio rispetto al 39% del placebo. Tuttavia, quando i gruppi di trattamento sono stati suddivisi tra 1 e 2 dosi giornaliere, solo il gruppo una volta al giorno ha incontrato significatività statistica - suggerendo che gli effetti del farmaco non siano convenzionalmente dose-dipendenti.

La sperimentazione clinica è stata la prima del suo genere nello studio della sindrome di Angelman, effettuata in doppio cieco e con placebo (*cioè nè medici nè pazienti sapevano se stavano assumendo il farmaco o un placebo*).



ORGANIZZAZIONE SINDROME DI ANGELMAN

Via Bressa n° 8 31100 **TREVISO**

Tel. **0422411132** Fax. **0422319571**

**C.F.94047800266**

<http://www.sindromediangelman.org>

Email: [orsa@sindromediangelman.org](mailto:orsa@sindromediangelman.org)



OV101 è un farmaco orale che agisce sui recettori GABA extra sinaptici, partendo dalla teoria che la sindrome di Angelman potrebbe presentare un numero eccessivo di trasportatori GABA nei neuroni, il che porterebbe a una carenza della sostanza chimica GABA (*cioè il neurotrasmettitore che media l'inibizione delle sinapsi*) nel cervello.

Come unico farmaco di fase 2 di Ovid, OV101 è il farmaco più avanzato nel percorso verso la commercializzazione. Gli investitori hanno risposto negativamente ai dati resi pubblici, inviando le azioni della società in ribasso del 31% in valore.

La società ha annunciato che avvierà uno studio di estensione di un anno in aperto per le persone coinvolte in precedenti studi OV101 con la sindrome di Angelman, con l'obiettivo di iniziare la sperimentazione entro la fine dell'anno. La OVID è intenzionata a andare avanti nella registrazione del farmaco presso la FDA (l'agenzia di controllo dei farmaci americana).

Il Presidente Tommaso Prisco

