

A FASE 1 DO ENSAIO CLÍNICO COM A DROGA ACE-083, DA ACCELERON, COMO TRATAMENTO PARA A DOENÇA DE CHARCOT-MARIE-TOOTH (CMT), MOSTRA RESULTADOS POSITIVOS EM PESSOAS SAUDÁVEIS.

A ACE-083, uma terapia investigativa para o tratamento da doença de Charcot-Marie-Tooth (CMT), foi bem aceita e resultou em aumento do crescimento muscular direcionado em voluntários saudáveis em um ensaio clínico de Fase 1 como mostram os resultados.

O estudo, "ACE-083 de atuação local aumenta o volume muscular em voluntários saudáveis", foi publicado na revista *Muscle & Nerve*.

ACE-083 da Acceleron é uma droga de atuação local que se liga a uma proteína chamada miostatina e outros reguladores musculares, e funciona aumentando o crescimento muscular. Um dos benefícios do ACE-083 é que ele atua de forma direcionada nos músculos onde é administrado.

A ACE-083 também mostrou aumentar a massa muscular e a força em camundongos com doença neuromuscular.

Os pesquisadores realizaram um ensaio randomizado e controlado com placebo na Fase 1 (NCT02257489) para testar doses únicas e múltiplas de ACE-083 como uma injeção local em músculos esqueléticos selecionados de mulheres pós-menopáusicas saudáveis entre 45 e 75 anos.

Os pesquisadores testaram três doses únicas - 50 mg, 100 mg e 200 mg - e doses múltiplas de doses de 100 mg, 150 mg e 200 mg.

O objetivo primário do estudo - seu ponto final - foi avaliar a segurança e tolerabilidade da terapia. Os pontos finais adicionais ou secundários testaram sua eficácia medindo força e volume muscular em comparação com o placebo.

Os participantes receberam um intervalo de 50-200 mg de ACE-083 ou placebo que foi administrado no reto femoral - um músculo no meio da frente da coxa ou o tibial anterior, que é um músculo localizado principalmente perto da canela. Os participantes receberam uma ou duas doses separadas três semanas.

Entre as 58 mulheres matriculadas, 42 receberam ACE-083 e 16 receberam placebo.

Os resultados de segurança mostraram que não houve eventos adversos graves, toxicidades limitantes de dose ou descontinuações devido a eventos adversos.

O aumento médio máximo do volume muscular para o músculo reto femoral foi de 14,5% e 8,9% para o músculo tibial anterior. No entanto, os pesquisadores não conseguiram detectar mudanças significativas na força muscular média.

"Esses aumentos sem precedentes no volume muscular total produzidos na fase 1 de ACE-083 foram críticos ao nos levar a avançar rapidamente em dois testes de Fase 2 em duas doenças distintas de fraqueza muscular focal", Matthew Sherman, MD, diretor médico de Acceleron, disse em um comunicado de imprensa.

O ACE-083 agora está sendo testado em dois ensaios clínicos de Fase 2 - um para CMT (NCT03124459), participantes atualmente inscritos e outro para distrofia facioscapulohumeral (FSHD).

Os resultados preliminares da Parte 1 do teste do FSHD mostraram que houve um aumento médio do volume total de músculo de mais de 12% em pacientes que receberam ACE-083 no tibial anterior e bíceps braquial - ambos os músculos na parte superior do braço.

Os resultados finais da Parte 1 de ambos os ensaios da Fase 2 são esperados no segundo semestre de 2018. A segunda parte do ensaio FSHD deverá começar em breve, com os resultados esperados em 2019. A parte 2 do teste CMT deverá começar pela final de 2018.

"Acreditamos que ACE-083 poderia ter um impacto significativo no aumento da massa muscular, força e função em pacientes com transtornos neuromusculares", disse Sherman.

Referência:

Iqra Mumal - <https://charcot-marie-toothnews.com/2018/03/05/phase-1-trial-ace-083-charcot-marie-tooth-shows-promising-results/> - 05/03/2018

Tradução: Lucas Rafael