

Cari membri della comunità FSHD,

A seguito della vostra richiesta di aggiornamenti sul nostro programma di sviluppo clinico per la FSHD, oggi vi comunico che abbiamo preso la difficile decisione di non portare avanti lo sviluppo di emugrobart (un anticorpo anti-miostatina sperimentale, noto anche come GYM329) nella fase III per la FSHD.

La decisione di interrompere le attività cliniche relative all'emugrobart nella FSHD fa seguito a una rigorosa valutazione dei dati provenienti dallo studio clinico MANOEUVRE ([NCT05548556](#)) – uno studio di fase II volto a valutare la sicurezza, l'efficacia, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica dell'emugrobart in soggetti di età compresa tra i 18 e i 65 anni affetti da FSHD. Purtroppo, emugrobart non ha prodotto in modo consistente i miglioramenti sperati nella crescita e nella funzione muscolare nelle persone affette da FSHD. Questa decisione non è stata determinata da alcun risultato relativo alla sicurezza.

Siamo consapevoli dell'importanza di questa decisione per tutte le persone affette da FSHD o che assistono qualcuno affetto da questa malattia, e comprendiamo che l'interruzione del trattamento con emugrobart nella FSHD sia motivo di delusione.

Siamo profondamente grati ai partecipanti allo studio, ai loro partner di cura e ai centri di studio per il loro contributo a questa importante ricerca. Vorremmo inoltre ringraziare la comunità FSHD per la collaborazione e la competenza dimostrate durante lo sviluppo di emugrobart nella FSHD. Abbiamo in programma di condividere i dati dello studio MANOEUVRE in occasione di un prossimo congresso medico, affinché questa ricerca possa contribuire allo sviluppo di futuri trattamenti per la FSHD.

Se avete domande in merito alle informazioni fornite, non esitate a contattarci.

Cordiali saluti,



Louisa Townson, a nome del Team FSHD globale di Roche
Global Patient Partnership

Domande frequenti

Cosa ha studiato lo studio di fase II MANOEUVRE?

- Lo studio clinico di fase II MANOEUVRE è stato progettato per valutare la sicurezza, l'efficacia, la tollerabilità, la farmacocinetica e la farmacodinamica di emugrobart, un anticorpo anti-miostatina sperimentale, per il trattamento di persone di età compresa tra i 18 e i 65 anni affette da FSHD.

Perché lo studio MANOEUVRE è stato interrotto? È dovuto a preoccupazioni relative alla sicurezza?

- Lo studio di fase II MANOEUVRE non è stato interrotto a causa di problemi di sicurezza; emugrobart è stato ben tollerato, senza eventi avversi gravi né interruzioni del trattamento.
- Lo studio di fase II MANOEUVRE è stato interrotto a seguito di un'analisi rigorosa dei risultati che

ha dimostrato che emugrobart non ha prodotto miglioramenti costanti nella funzione motoria rispetto al placebo.

Cosa accadrà ai partecipanti che hanno preso parte alla sperimentazione MANOEUVRE?

- Se partecipa allo studio MANOEUVRE, la invitiamo a contattare il medico responsabile dello studio per ulteriori informazioni e per conoscere nel dettaglio i prossimi passi da compiere. Stiamo
- collaborando con i medici dello studio per garantire una transizione fluida e sicura: ciò comporterà la
- sospensione di emugrobart e valutazioni di follow-up sulla sicurezza. Riconosciamo il prezioso contributo che i partecipanti hanno dato al progresso della scienza medica e, sebbene questa decisione non sia stata presa alla leggera, faremo in modo che venga gestita con cura e responsabilità.