

# Studio clinico con acido nor- ursodesossicolico (norUDCA) in pazienti affetti da colangite sclerosante primitiva (CSP)

**Titolo dello studio:** Studio di fase III, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, di confronto tra capsule di acido nor-ursodesossicolico e un placebo nel trattamento della colangite sclerosante primitiva

## **Contesto:**

La CSP è una malattia cronica per la quale non esiste attualmente alcuna terapia medica disponibile sul mercato.

Il profilo chimico dell'acido nor-ursodesossicolico (norUDCA) è simile a quello dell'acido ursodesossicolico (UDCA), un acido biliare naturalmente prodotto dal corpo umano.

Precedenti progetti di ricerca hanno indicato un miglioramento dell'azione antinfiammatoria dopo l'assunzione di norUDCA e una maggiore efficacia nella stimolazione del flusso biliare.

## **Qual è la finalità di questo studio clinico?**

Lo studio viene condotto per acquisire informazioni sulla sicurezza e sull'efficacia di norUDCA in un arco di tempo prolungato (2 – 4 anni). Ciò consentirà di confermare i risultati di studi clinici precedenti già conclusi, trattando con norUDCA un più vasto numero di pazienti affetti da CSP al fine di presentare la domanda di autorizzazione del farmaco.

## **Quale sarà il dosaggio?**

Un precedente studio clinico su pazienti affetti da CSP ha mostrato che 1500 mg una volta al giorno rappresentano la dose ottimale di norUDCA. Nel presente studio clinico, due terzi dei partecipanti riceveranno un trattamento orale con un dosaggio fino a 1500 mg di norUDCA una volta al giorno, mentre un terzo riceverà un placebo (capsula di aspetto identico, ma senza principio attivo). Non essendo ancora attualmente disponibile un trattamento standard autorizzato per la CSP, sarà incluso in questo studio un gruppo placebo per consentire una migliore valutazione dell'efficacia di norUDCA. Né lei né il suo medico conoscerete se sta ricevendo norUDCA o il placebo. Durante lo studio lei potrà continuare ad assumere i suoi farmaci normali.

## **Chi può partecipare allo studio?**

- Pazienti con diagnosi di CSP confermata, di età compresa tra 16 e 75 anni
- Pazienti con livello elevato dell'enzima fosfatasi alcalina

Il medico dello studio le comunicherà eventuali ulteriori criteri di inclusione che dovranno essere soddisfatti per partecipare.

## **Come sarà condotto lo studio? Per quanto tempo verrà effettuato il trattamento?**

Dopo aver deciso di partecipare allo studio e a condizione che lei soddisfi i criteri di eleggibilità dello studio, riceverà le capsule di norUDCA o di placebo da assumere su base giornaliera per un periodo di 2 – 4 anni. Oltre alla visita di screening, sono previste altre 21 visite (le prime 5 visite sono programmate ogni 2 settimane, le successive ogni 3 mesi).

Durante queste visite verranno effettuati esami obiettivi ed esami di laboratorio. Prima dell'inizio dello studio e ogni 2 anni verrà eseguita anche una biopsia epatica.

### **Quali benefici offre la partecipazione allo studio?**

Non è possibile stabilire se la partecipazione a questo studio porti un beneficio diretto per la salute. Recenti dati ottenuti da studi preclinici e clinici con norUDCA mostrano che norUDCA potrebbe essere efficace per il trattamento della CSP. Tuttavia, per i pazienti inclusi nel gruppo placebo si attende solo l'effetto prodotto dal trattamento con il placebo. I risultati di questo studio consentiranno di sviluppare e offrire in futuro un migliore trattamento ai pazienti con CSP.

Durante lo studio sarà sottoposto/a a regolari check-up e analisi del sangue e riceverà un'assistenza medica più completa rispetto a quanto previsto in normali situazioni di trattamento.

Se lei o il suo medico ritenete che un'interruzione anticipata dello studio possa essere nel suo migliore interesse, ad esempio a causa di un mancato miglioramento, se non addirittura di un peggioramento, del suo stato di salute nonostante il trattamento per un periodo prolungato (ad es. se non risponde al trattamento con norUDCA oppure se sta ricevendo il placebo), è libero/a di ritirarsi da questo studio in qualsiasi momento senza fornire giustificazioni. Il suo medico discuterà con lei eventuali ulteriori opzioni di trattamento.

La partecipazione a questo studio consentirà ai ricercatori di acquisire maggiori conoscenze sull'efficacia e sulla sicurezza di questa nuova opzione terapeutica. I risultati di questo studio consentiranno di capire se e quali pazienti con CSP possono beneficiare di questo trattamento. Questi dati sono necessari per ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio di norUDCA per il trattamento di pazienti affetti da CSP.

### **Come si partecipa a questo studio?**

*Se è interessato/a a partecipare a questo studio, può contattare uno dei centri di studio indicati qui di seguito.*

Sarà esaminata con il medico dello studio la sua eleggibilità a partecipare a questo studio. Il medico dello studio le spiegherà in modo dettagliato la natura, gli obiettivi e l'ambito di questo studio clinico e risponderà ad eventuali sue domande. Inoltre, lei riceverà un foglio informativo per il paziente completo, in forma cartacea, che le illustra lo studio in maniera dettagliata. È libero/a di decidere se partecipare o meno a questo studio.

Questo studio è stato approvato da dalla Commissione etica cantonale di Zurigo con la partecipazione di Commissione d'etica Berna, Commissione d'etica svizzera nord-ovest/centrale EKNZ, Ethikkommission Ostschweiz EKOS, Commissione d'etica Vaud e Commissione d'etica Ticino. Questo studio, avviato da Dr. Falk Pharma, includerà 300 pazienti affetti CSP provenienti da 18 paesi europei.

### **Recapiti in Svizzera:**

#### **Prof. Dr. med. Beat Müllhaupt**

UniversitätsSpital Zürich, Klinik für Gastroenterologie und Hepatologie  
Rämistrasse 100, **8091 Zürich**

Contatto: Claudia Polzer, +41 44 255 37 57, [claudia.polzer@usz.ch](mailto:claudia.polzer@usz.ch)

**PD Dr. Dr. David Semela**

Kantonsspital St. Gallen, Klinik für Gastroenterologie / Hepatologie  
Rorschacherstrasse 95, **9007 St. Gallen**

Contatto: Roman Stillhard, +41 71 494 27 67, [roman.stillhard@kssg.ch](mailto:roman.stillhard@kssg.ch)

**Prof. Dr. med. Markus Heim**

Universitätsspital Basel  
Petersgraben 4, **4031 Basel**

Contatto: Prof. Dr. med. Markus Heim, +41 61 265 25 25, [markus.heim@clarunis.ch](mailto:markus.heim@clarunis.ch)

**Dr. Giuseppe Murgia**

Inselspital, UVCN Hepatology  
Bauchzentrum INOA, **3010 Bern**

Contatto: Kathrin Husi, +41 31 632 59 33, [kathrin.husi@insel.ch](mailto:kathrin.husi@insel.ch)

**Dr.ssa Benedetta Terzioli Beretta-Piccoli**

Epatocentro Ticino  
Via Soldino 5, **6900 Lugano**

Contatto: Dr.ssa Benedetta Terzioli Beretta-Piccoli, +41 91 960 85 03, [benedetta.terzioli@hin.ch](mailto:benedetta.terzioli@hin.ch)