

LYSO JOURNAL

Fabry

La rassegna selezionata
per te

Standardising clinical outcomes measures for adult clinical trials in Fabry disease: A global Delphi consensus.

Moreno-Martinez D, Aguiar P, Auray-Blais C et al. Standardising clinical outcomes measures for adult clinical trials in Fabry disease: A global Delphi consensus. *Mol Genet Metab.* Apr;132(4):234-243.

sanofi

ABSTRACT

Background: i recenti anni hanno visto un considerevole aumento degli studi clinici condotti per testare **nuovi farmaci nella malattia di Fabry**. Molti studi sono tuttora in corso; tuttavia, la mancanza di una standardizzazione risulta in una difficile interpretazione e comparazione dei risultati degli studi stessi. Per **facilitare la standardizzazione di programmi di sviluppo di nuove molecole**, è stato sviluppato un *framework* comune per futuri *trials* clinici.

Metodi: un ampio **consenso sugli outcome clinici e come valutarli** è stato ottenuto con la **metodologia Delphi**. 35 esperti di malattia di Fabry provenienti da 4 continenti, rappresentativi di 3.389 pazienti, hanno partecipato nelle tre fasi della procedura Delphi. L'obiettivo è stato quello di **raggiungere un consenso sul disegno dei trials**, il miglior *comparator*, gli outcome clinici, come valutare questi outcome e i criteri di inclusione ed esclusione.

Il consenso è stato raggiunto sul disegno adattativo dei trials clinici e l'utilizzo dell'agalsidasi beta come miglior *comparator*, dato l'ampio utilizzo dello stesso. **Outcome renali e cardiaci**, come la velocità di filtrazione glomerulare, la proteinuria e l'indice di massa ventricolare sinistra, sono stati prioritizzati.

Al contempo, **l'outcome neurologico**, come le lesioni cerebrovascolari e quelle della sostanza bianca, non è stato

considerato come possibile *outcome* primario e secondario. Inoltre, c'è stato un *consensus* sull'**importanza dei patient-related outcomes**, come la qualità di vita, il dolore e i sintomi gastroenterici. Ancora, c'è stato accordo sull'utilizzo del GB3 e LysoGB3 come marcatori surrogati di malattia. Il Gruppo ha riconosciuto la RM cardiaca con T1 *mapping* avere del potenziale, sebbene sia necessario ulteriore sviluppo prima della sua applicazione nei trials clinici. In ultimo, i pazienti con ESRD e trapiantati dovrebbero essere esclusi, a meno che non ci sia una sotto-analisi nello studio.

CONCLUSIONI

Il consenso aiuterà a meglio forgiare i trials clinici in futuro.

Prendiamo nota del fatto che l'FDA ha recentemente pubblicato un *draft* di linee guida sullo stesso argomento e accogliamo questo contributo.



Per maggiori informazioni chiedi a MedInfo