

Cyclo Therapeutics annuncia la formazione di un comitato direttivo globale composto da esperti leader per fornire consulenza sul programma globale di sviluppo clinico di fase 3 per Trappsol® Cyclo™ nella malattia di Niemann-Pick di tipo C

3 Febbraio 2022

- Lo studio cardine di Fase 3 dell'azienda, TransportNPC™, in corso con l'attivazione globale del sito e l'arruolamento dei pazienti in corso
- I dati visti fino ad oggi forniscono supporto per la capacità di Trappsol® Cyclo™ di stabilizzare la progressione della malattia con le infusioni endovenose domiciliari in NPC
- Trappsol® Cyclo™ dimostra un profilo di sicurezza accettabile, somministrato per via endovenosa, per più di 2 anni

Cyclo Therapeutics, Inc. (Nasdaq: CYTH) ("Cyclo Therapeutics" o la "Società"), una società di biotecnologie in fase clinica dedicata allo sviluppo di farmaci che cambiano la vita attraverso la scienza e l'innovazione per i pazienti e le famiglie che convivono con malattie, ha annunciato oggi la formazione di un Global Steering Committee (GSC) per guidare il programma fondamentale di sviluppo clinico globale di Fase 3 di Trappsol® Cyclo™ per il trattamento della malattia di Niemann-Pick di tipo C (NPC). In qualità di Global Principal Investigator per lo studio TransportNPC™, Caroline Hastings, MD, funge da esperto scientifico e clinico senior per lo studio e presiederà anche il GSC.

“La dott.ssa Caroline Hastings, ricercatrice principale globale per transportNPC™ e presidente dell'SGC, è stata determinante nell'assemblare questo comitato direttivo globale di alto calibro con la rappresentanza di rinomati Key Opinion Leader ed esperti clinici in NPC. È un'altra testimonianza del nostro impegno a servire la comunità degli NPC e a soddisfare le esigenze mediche insoddisfatte. Mi sento onorata e privilegiata di lavorare con questo eccezionale gruppo di professionisti che si impegnano a far progredire la scienza e le sperimentazioni cliniche che possono portare speranza e benefici terapeutici a così tanti pazienti e alle loro famiglie”, ha commentato Lise Kjems, MD, PhD, Chief Medical Officer di Cyclo Therapeutics.

Lo studio cardine di Fase 3 della Società, TransportNPC™, è uno studio multicentrico randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli, progettato per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di dosi da 2.000 mg/kg di Trappsol® Cyclo™ somministrate per via endovenosa e standard di cura (SOC), rispetto al placebo somministrato per via endovenosa e al solo SOC, in pazienti con NPC1. Lo studio di Fase 3 intende arruolare almeno 93 pazienti pediatrici (di età pari o superiore a 3 anni) e adulti con NPC1 in almeno 23 centri di studio in 9 paesi. I pazienti idonei saranno randomizzati 2:1 a ricevere Trappsol® Cyclo™ o un placebo. La randomizzazione non sarà vincolata in base all'età del paziente, né l'arruolamento del paziente sarà limitato dall'età del paziente. La durata dello studio è di 96 settimane e comprende un'analisi ad interim a 48 settimane.

Il Dr. Hastings, Global Principal Investigator per lo studio TransportNPC™ e membro del Scientific Advisory Board di Cyclo Therapeutics ha aggiunto: "Sono molto grata per le risposte straordinariamente positive quando ho contattato i colleghi scienziati e medici per invitarli a partecipare al Comitato Global Steering. Sono onorata di lavorare al fianco di questi meravigliosi colleghi con conoscenze e competenze eccezionali e che rappresentano gli eccellenti ricercatori che prenderanno parte allo studio TransportNPC™. Insieme, abbiamo un'opportunità davvero unica per perfezionare ulteriormente la strategia scientifica per Trappsol® Cyclo™ e aiutare a guidare questo importante programma verso una potenziale approvazione".

“L'NPC è una malattia neurodegenerativa devastante che necessita di terapie più efficaci. Dato il decorso clinico e la natura progressiva di questa malattia, sono necessarie nuove strategie terapeutiche con potenziali effetti modificatori della malattia. Lo studio TransportNPC™ è unico in quanto è progettato per

dimostrare i benefici clinici a lungo termine e il potenziale per modificare il progredire della malattia", ha commentato il professor Roberto Giugliani, MD, PhD.

"Mi occupo di pazienti con NPC da più di 25 anni. Questi pazienti hanno urgente bisogno di migliori opzioni di trattamento che fermino il decorso crudele e neurodegenerativo di questa malattia. In questo studio con ciclodestrina per via endovenosa, vedo un'opportunità per migliorare l'offerta terapeutica", ha aggiunto il dottor Eugen Mengel.

I membri del Comitato Global Steering TransportNPC™ sono:

- La professoressa **Caroline Hastings**, MD, è il presidente del comitato direttivo del programma Trappsol® Cyclo™ di fase 3 e il principale investigatore globale per lo studio TransportNPC™ in corso della società che valuta Trappsol® Cyclo™ per il trattamento dell'NPC. Il Dr. Hastings è attualmente oncologa ematologa pediatrica, Direttrice di Neuro-oncologia e Professoressa di Pediatria presso l'UCSF Benioff Children's Hospital di Oakland ed è consulente per le organizzazioni di difesa degli NPC statunitensi e australiane e per i medici di tutto il mondo sull'NPC. Esercita la pratica nel campo dell'oncologia ematologica pediatrica dal 1992 e dal 1996 è direttrice del programma di borse di studio presso il Children's Hospital & Research Center di Oakland. Si è dedicata ai suoi pazienti e alla promozione dell'istruzione in questa specialità. I suoi interessi accademici includono tumori del cervello e del midollo spinale, leucemia linfoblastica acuta recidivante e malattie da accumulo lisosomiale, inclusa la malattia di Niemann Pick di tipo C.
- Il professor **Mark Walterfang** MBBS Hons, PhD, FRANZCP è uno psichiatra consulente presso l'Unità di riabilitazione per la salute mentale degli adulti presso il Sunshine Hospital e un neuropsichiatra consulente presso l'Unità di neuropsichiatria del Royal Melbourne Hospital. Il Dr. Walterfang è stato coinvolto nello sviluppo di una serie di strumenti clinici da utilizzare nei pazienti psichiatrici nelle aree della cognizione e dell'osservazione comportamentale e nella loro convalida in una varietà di contesti medici, neurologici e psichiatrici dal 2000. La sua continua ricerca coinvolge il neuroimaging e indagine neuropsichiatrica di disturbi neurometabolici tra cui fenilchetonuria e NPC e analisi della forma delle regioni corticali e sottocorticali nei disturbi neurodegenerativi. Ha pubblicato oltre 170 articoli scientifici indicizzati Medline e ha recentemente contribuito con un nuovo capitolo sulla neuropsichiatria dei disturbi neurometabolici e neuroendocrini al testo di riferimento più rispettato al mondo in psichiatria, il "Comprehensive Textbook of Psychiatry" di Kaplan e Sadock.
- Il Professor **Maurizio Scarpa**, MD, PhD, Pediatra è il Fondatore e Presidente della Brains for Brain Foundation, una task force paneuropea sulle malattie cerebrali e neurodegenerative. È Professore Ordinario di Pediatria presso il Dipartimento di Salute della Donna e dell'Infanzia, Università di Padova e Direttore del Centro di Coordinamento per le Malattie Rare, Policlinico Universitario di Udine. Il Professor Scarpa ha una vasta esperienza come scienziato di base in genetica e biotecnologia e come clinico nella diagnosi e nel trattamento delle malattie rare pediatriche, in particolare delle malattie neurometaboliche. È particolarmente interessato allo sviluppo di approcci sanitari innovativi per la diagnosi e il trattamento delle malattie ereditarie metaboliche. Il professor Scarpa ha pubblicato circa 140 articoli clinici e scientifici internazionali sottoposti a revisione paritaria, capitoli di libri e recensioni. Il Professor Scarpa è il Coordinatore dell'European Reference Network for Inherited Metabolic Diseases (MetabERN).
- Il Dr. **Eugen Mengel** è il ricercatore principale, fondatore e CEO di SphinCS GmbH & SphinCS Lyso UG senza scopo di lucro. Il Dr. Mengel si è dedicato alla ricerca nel campo delle malattie lisosomiali e ha già contribuito in modo significativo al progresso di questo campo di studio. È coautore di 129 pubblicazioni peer-reviewed incentrate sulla malattia di Gaucher, NPC e la malattia di Pompe ed è un membro attivo della Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism (SSIEM), European Study Group on Lysosomal Diseases (ESGLD) e il gruppo di lavoro europeo sulla malattia di Gaucher (EWGGD).

- **Orna Staretz-Chacham**, MD è un neonatologo, specialista del metabolismo e docente senior presso la Facoltà di Scienze della Salute, Università Ben-Gurion del Negev, Israele. Per anni la dott.ssa Staretz-Chacham ha lavorato nel campo dei disordini metabolici ereditari con particolare attenzione al neonato e dal 2021 dirige il Center for Rare Disease nel Soroka Medical Center. Tra i tanti contributi critici derivanti dalla sua ricerca c'è la caratterizzazione del sistema polmonare patologie in Niemann-Pick C1 e più recentemente in pazienti lisosomiali con COVID-19. Il Dr. Staretz-Chacham è considerato uno dei più importanti esperti clinici nelle presentazioni cliniche polmonari nei pazienti con NPC. Il Dr. Staretz-Chacham è stato coinvolto in studi clinici con Trappsol® Cyclo™ sin dall'inizio e ha una significativa esperienza nel trattamento di pazienti con NPC. Il suo impegno nella ricerca clinica è evidenziato dagli oltre 40 articoli pubblicati su riviste peer-reviewed nel campo delle malattie metaboliche ereditarie.
- **Loren DM Pena**, MD, PhD è un genetista clinico, divisione di genetica umana e professore associato, dipartimento di pediatria presso il centro medico dell'ospedale pediatrico di Cincinnati. In qualità di genetista clinico, il dottor Pena lavora con bambini che hanno malattie rare e orfane, disturbi da accumulo lisosomiale e disturbi metabolici, e lavora anche nella neurogenetica e nella scoperta di geni. La dott.ssa Pena ha dato notevoli contributi al campo attraverso la sua ricerca come membro principale della facoltà per studi clinici in genetica e conducendo numerosi studi clinici per malattie rare.
- Il Professor **Roberto Giugliani**, MD, PhD è un genetista medico con specializzazione in malattie metaboliche ereditarie. È Professore Ordinario presso il Dipartimento di Genetica dell'Università Federale del Rio Grande do Sul e membro attivo del Servizio di Genetica Medica dell'HCPA (Ospedale Universitario), Brasile. È anche coordinatore dell'Istituto brasiliano di genetica medica della popolazione, redattore capo del Journal of Inborn Errors of Metabolism and Screening, presidente della Scuola latinoamericana di genetica umana e medica, membro dell'Accademia brasiliana delle scienze, capo di Malattie rare di DASA/GeneOne e co-fondatore di House of Rares. È l'ex presidente della Società latinoamericana degli errori congeniti del metabolismo e dello screening neonatale, della Rete latinoamericana di genetica umana (RELAGH) e della Società brasiliana di genetica medica. I principali interessi del professor Giugliani sono concentrati nello screening, diagnosi e trattamento dell'IEM, avendo supervisionato la formazione di oltre 100 MSc/PhD e autore di oltre 500 articoli scientifici.
- Il Professor Dr. **Fatih Ezgü** è Professore di Pediatria e Capo del Dipartimento di Genetica Pediatrica presso l'Università Gazi, Facoltà di Medicina, Dipartimento di Pediatria ad Ankara, in Turchia. È anche docente presso il Dipartimento di Disordini Metabolici Pediatrici della stessa istituzione. Il professor Ezgü ha lavorato nel campo delle malattie genetiche e metaboliche congenite per 21 anni e ha pubblicato oltre 100 articoli in riviste sottoposte a revisione paritaria. I suoi interessi principali sono le malattie lisosomiali, le malattie mitocondriali, la dismorfologia clinica e le malattie ossee genetiche e metaboliche e nuovi trattamenti per le malattie genetiche. Il Dr. Ezgü è il vicepresidente del Centro di sperimentazione clinica di fase 1 per le malattie genetiche dell'Università di Gazi.

Per ulteriori informazioni sullo studio cardine di Fase 3 TransportNPC™ della società, visitare www.ClinicalTrials.gov e l'identificatore di riferimento NCT04860960