

Cari membri della comunità NPC,

Sono Scott Fine e sono CEO di Cyclo Therapeutics dal 2015. La nostra azienda sta scrivendo uno studio di fase 3 per un potenziale trattamento per NPC. Lo studio, chiamato "TransportNPC", è il più avanzato programma in corso per NPC e segue direttamente dai nostri programmi di successo di Fase 1 e 2.

I bisogni che esistono per coloro che vivono con la NPC e per i loro cari sono incommensurabili. Come padre di quattro figli, nonno di sei nipoti, e ora come badante di mia moglie di 44 anni, conduco la mia vita con empatia. Non passa un giorno in cui non penso al peso di questa malattia sulla community delle persone con NPC. Come azienda e come team di professionisti appassionati di aiutare la community NPC, ci siamo impegnati a lavorare instancabilmente per promuovere una potenziale opzione di trattamento per questa malattia devastante.

Questo impegno non è nuovo e il nostro progresso è tangibile:

Nel 2009 abbiamo fornito ai primi pazienti idrossipropil-beta-ciclodestrina sperimentale come potenziale terapia per affrontare i sintomi di NPC. Questo era un programma di uso compassionevole iniziato negli Stati Uniti che si è espanso nel 2010 in diversi altri paesi.

Nel 2015 abbiamo iniziato il nostro programma clinico formale per studiare l'idrossipropil-beta-ciclodestrina, lavorando con i primi leader nel campo, in particolare la dottoressa Caroline Hastings e il dottor Benny Liu, per il nostro programma negli Stati Uniti. Siamo stati raggiunti da leader in Europa e Israele mentre ampliavamo le nostre prove a quelli Paesi.

Oggi: più medici statunitensi, tra cui la dott.ssa Loren Pena del Cincinnati Children's e la dott.ssa Ozlem Goker-Alpan al Lysosomal and Rare Disorders Research and Treatment Center in Virginia e il Dr. Damara Ortiz dell'UPMC Children's Hospital di Pittsburgh, si sono uniti al medico-scienziato controparti provenienti da Australia, Israele, Germania, Italia e altre nazioni per condurre la nostra prova cardine globale, l'ultima prova prima della nostra promettente registrazione sul mercato. La dottoressa Hastings è stata con noi ad ogni passo ed è oggi il principale investigatore globale e capo del comitato direttivo globale per lo studio cardine, una vera testimonianza della sua dedizione e fiducia nella nostra terapia sperimentale.

Oltre a dover gestire la NPC, avete sopportato ulteriori difficoltà in attesa che le terapie venissero approvate negli Stati Uniti e in tutto il mondo. Ammiro che non siate rimasti passivamente in disparte. E nemmeno noi. Siamo stati un partner costante e abbiamo ascoltato la comunità in ogni fase. Avete il mio impegno affinché la Cyclo continui a portare avanti il nostro processo con l'obiettivo di portare il nostro farmaco oltre il traguardo. In caso di domande sul nostro programma e sui progressi, o sulle persone che guidano i nostri team, risponderemo in modo rapido e trasparente.

La nostra responsabile della difesa dei pazienti è Lori McKenna Gorski e può essere contattata all'indirizzo lori.gorski@cyclodex.com. Se desiderate parlare direttamente con me, comunicatelo a Lori e ci metterà in contatto.

Siamo privilegiati e onorati di essere in questo viaggio con voi e non vediamo l'ora di portare avanti il nostro programma clinico a beneficio della comunità NPC.

Sinceramente,

Scott