

LISTA PROTOCOLLI NEUROLOGIA CON RECLUTAMENTO ATTIVO

- **TAK-935-3001** Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di soticlestat come terapia aggiuntiva in soggetti pediatrici e giovani adulti affetti da sindrome di Dravet (SD).

Studio di fase 3, globale, multicentrico, randomizzato 1:1, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di soticlestat come terapia aggiuntiva in soggetti pediatrici e giovani adulti affetti da SD. Il periodo di trattamento è di 16 settimane. La durata totale dello studio è di circa 25 settimane per i soggetti che completano lo studio e scelgono di non effettuare il roll-over allo studio di estensione in aperto (OLE). Per coloro che effettuano il roll-over allo studio OLE, la durata dello studio è di 3 settimane più breve.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04940624**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04940624?term=soticlestat&recrs=a&age=0&draw=2&rank=2>

- **TAK-935-3002:** Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di soticlestat come terapia aggiuntiva in soggetti pediatrici e adulti affetti da sindrome di Lennox-Gastaut (LGS).

Studio di fase 3, globale, multicentrico, randomizzato 1:1, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di soticlestat come terapia aggiuntiva in soggetti pediatrici e adulti affetti da LGS. Il periodo di trattamento è di 16 settimane. La durata totale dello studio è di circa 25 settimane per i soggetti che completano lo studio e scelgono di non effettuare il roll-over allo studio di estensione in aperto (OLE). Per coloro che effettuano il roll-over allo studio OLE, la durata dello studio è di 3 settimane più breve.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04938427**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04938427?term=soticlestat&recrs=a&age=0&draw=2&rank=3>

- **TAK-935-3003:** Estensione di fase 3, prospettica, in aperto, multicentrica, di studi di fase 3 volta a valutare la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di Soticlestat come terapia aggiuntiva in soggetti con sindrome di Dravet o sindrome di LennoxGastaut (ENDYMION 2).

Si prevede che questo studio durerà circa 4 anni, che comprendono una finestra basale, il periodo di titolazione della dose di 2 settimane e il periodo di mantenimento di circa 4 anni. I soggetti non interromperanno soticlestat improvvisamente, ma saranno sottoposti a 1 settimana di periodo di riduzione graduale della dose. Al completamento di tutte le visite, i soggetti saranno seguiti per una visita di follow-up di sicurezza di 2 settimane. Le visite non programmate possono anche avvenire in base alle necessità. A questo studio parteciperanno circa 142 soggetti con DS e 234 soggetti con LGS presso circa 85 centri dello studio a livello globale.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT05163314**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05163314?term=soticlestat&recrs=a&age=0&draw=2&rank=1>

- **TV48125-CNS-30082:** Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli, che confronta efficacia, sicurezza e tollerabilità della somministrazione sottocutanea di Fremanezumab verso Placebo per il trattamento preventivo di emicrania cronica in pazienti pediatrici da 6 a 17 anni di età.

Studio di fase 3, multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli, della durata di 4 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di 2 dosi differenti (a seconda del peso corporeo del paziente) di fremanezumab e placebo per via sottocutanea (s.c.). L'arruolamento includerà pazienti di sesso maschile e femminile (da 6 a 17 anni d'età, inclusi) con emicrania cronica.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04464707**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04464707?term=fremanezumab&recrs=a&age=0&draw=2&rank=2>

- **TV48125-CNS-30083:** Studio multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli, che confronta efficacia, sicurezza e tollerabilità della somministrazione sottocutanea di fremanezumab verso placebo per il trattamento preventivo dell'emicrania episodica in pazienti pediatriche di età compresa tra 6 e 17 anni.

Studio di fase 3, multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, a gruppi paralleli, della durata di 4 mesi, per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di 2 dosi differenti (a seconda del peso corporeo del paziente) di fremanezumab e placebo per via sottocutanea (s.c.). L'arruolamento includerà pazienti di sesso maschile e femminile (da 6 a 17 anni d'età, inclusi) con emicrania episodica.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04458857**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04458857?term=fremanezumab&recrs=a&age=0&draw=2&rank=3>

- **TV48125-CNS-30084:** Studio di fase 3, multicentrico, Open-label per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di iniezioni sottocutanee mensili di Fremanezumab per il trattamento preventivo per emicrania episodica e cronica in pazienti pediatriche di età compresa tra 6 e i 17 anni

I pazienti provenienti dagli studi cardine (Studi TV48125-CNS30082 e TV48125-CNS-30083) inizieranno lo studio con la visita 2. Il trattamento in aperto sarà somministrato per via sottocutanea mensilmente (ogni 28 giorni) per un totale di 9 dosi. La durata totale della partecipazione per i pazienti trasferiti in questo studio dagli studi pivotali è di 14 mesi (comprendenti un periodo di trattamento di 9 mesi e un periodo di follow-up di 6 mesi dall'ultima somministrazione del farmaco in studio) per le valutazioni di farmacocinetica, immunogenicità e sicurezza.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04530110**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04530110?term=fremanezumab&recrs=a&age=0&draw=2&rank=1>

- **H8H-MC-LAHV (PIONEER-PEDS1):** Studio di fase 3 multicentrico, randomizzato, in doppio cieco controllato con placebo in pazienti di età compresa tra 6 e 18 anni con diagnosi di emicrania secondo la Classificazione internazionale delle Cefalee per valutare l'efficacia, la sicurezza e la tollerabilità di Lasmiditan 50 mg, 100 mg, and 200 mg comparato con placebo nel trattamento di un singolo attacco emicranico.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04396236**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04396236?term=lasmiditan&recrs=a&age=0&draw=2&rank=2>

- **H8H-MC-LAHW (PIONEER-PEDS2):** Studio di fase 3, di dodici mesi, prospettico, in aperto per valutare la sicurezza e tollerabilità dell'uso intermittente a lungo termine del Lasmiditan per il trattamento in acuto dell'emicrania in pazienti pediatriche (6-18 anni).

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04396574**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04396574?term=lasmiditan&recrs=a&age=0&draw=2&rank=1>

- **ARGX-113-2006 -Miastenia Gravis:** Sperimentazione non controllata in aperto per valutare la farmacocinetica, la farmacodinamica, la sicurezza e l'attività di efgartigimod in pazienti pediatriche di età compresa tra 2 e meno di 18 anni con miastenia gravis generalizzata.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT04833894**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04833894?recrs=a&cond=myasthenia+gravis&age=0&draw=2&rank=2>

- **105MS306:** Studio in aperto randomizzato, multicentrico con controllato attivo a gruppi paralleli per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di BIIB017 nel trattamento della sclerosi multipla recidivante remittente in soggetti pediatriche di età compresa tra 10 e meno di 18 anni con estensione in aperto facoltativa.

ClinicalTrials.gov Identifier: **NCT03958877**

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03958877?term=biogen&recrs=a&age=0&draw=2&rank=4>