

**Potenziati farmaci che potrebbero essere utilizzati per la distrofia miotonica attualmente in sperimentazione clinica.**

Fase	Studio clinico	Stato	Informazioni sullo studio clinico	Risultati
------	----------------	-------	-----------------------------------	-----------

**Mexiletina (piccola molecola riproposta): Designazione di farmaco orfano da parte di FDA e EMA**

III	NCT04624750	Non ancora reclutamento: 2020-2024	Sicurezza, efficacia e PK allo stato stazionario della mexiletina in pazienti pediatrici con disturbi miotonici. Sponsor: Lupin, Ltd	Non pubblicato
II	NCT01406873	Completato: 2011-2018	Effetti della mexiletina su ambulazione, miotonia, funzione muscolare, forza, dolore, funzionamento gastrointestinale, conduzione cardiaca e qualità della vita nel DM1. Sponsor: Università di Rochester	Publicati i risultati (1)

**Metformina (piccola molecola riproposta)**

III	2018-000692-32	Studio In corso: 2019-2021	Efficacia della metformina sulla motilità e la forza nel DM1. Sponsor: Tor Vergata	Non pubblicato
II	2013-001732-21	Completato: 2013-2017	Studio di fase II randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, di metformina in pazienti con DM1. Sponsor: Centre d'Etude des Cellules Souches/Istem	Publicati i risultati (2)

**Tideglusib (piccola molecola riproposta): Designazione di farmaco orfano da parte della FDA**

II/III	NCT03692312	Non ancora reclutamento: 2020-2022	Studio randomizzato, multicentrico, in doppio cieco, controllato con placebo, di fase II/III su pazienti (età 6-16 anni) con DM1 forma congenita. Sponsor: AMO Pharma Ltd	Non pubblicato
II	NCT02858908	Completato: 2016-2018	Sicurezza, efficacia e PK di tideglusib nel trattamento di adolescenti e adulti con DM1 forma congenita e DM1 a insorgenza giovanile. Sponsor: AMO Pharma Ltd	Publicati i risultati

**Eritromicina (piccola molecola riproposta)**

II	jRCT2051190069	Reclutamento: 2019 Studio in corso	Studio in cieco, controllato con placebo per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di MYD-0124 in pazienti adulti con DM1. Sponsor: Ospedale Università di Osaka	Non pubblicato
----	----------------	---------------------------------------	--	----------------

**IONIS-DMPKRx (ISIS 598769) (ASO)**

I/II	NCT02312011	Completato: 2014-2016	Sicurezza, tollerabilità e PK di dosi multiple crescenti di ISIS 598,769 somministrate per via sottocutanea a pazienti adulti con DM1. Sponsor: IONIS-Biogen	Non pubblicato
------	-------------	-----------------------	--	----------------

**ERX-963 (nuova piccola molecola chimica)**

I	NCT03959189	Completato: 2019-2020	Sicurezza, tollerabilità e potenziale riduzione dell'eccessiva sonnolenza/ipersonnia diurna e miglioramento della funzione cognitiva in pazienti con DM1. Sponsor: Expansion Therapeutics, Inc.	Non pubblicato
---	-------------	-----------------------	---	----------------

**Formulazione di caffeina e teobromina MYODMTM (composti naturali)**

N/A	NCT04634682	Reclutamento: 2020-2021	Effetto dell'integratore alimentare MYODMTM sul trattamento dell'eccessiva sonnolenza diurna e qualità della vita in adulti con DM1. Sponsor: Myogem Health Company, S.L.	Non pubblicato
-----	-------------	-------------------------	---	----------------

1) vedi <http://www.fondazionemalattiemiotoniche.org/mexiletina-e-dm1/>

2) vedi <http://www.fondazionemalattiemiotoniche.org/5390-2/>