

## La sperimentazione clinica “COMPASS”

**Studio clinico di Fase 2/3, randomizzato, in doppio cieco, “COMPASS” ([NCT05371613](#)): **Recruiting****

Questo studio è disegnato per valutare la sicurezza e l'efficacia del **DNL-310**, una **terapia enzimatica sostitutiva (ERT) sperimentale**, capace di **oltrepassare la barriera emato-encefalica**, somministrata settimanalmente come infusione endovenosa (IV) a **bambini e adolescenti** affetti dalla **Sindrome di Hunter (Mucopolisaccaridosi di tipo II, MPS II)**.

Il farmaco in studio, il DNL-310, utilizza una tecnologia nota come veicolo di trasporto dell'enzima (**Enzyme Transport Vehicle, ETV**) disegnata per fornire **l'enzima Iduronato-2-Solfatasi al corpo e al cervello**.

Sulla base dei risultati preliminari con follow-up a 2 anni di uno studio di Fase 1/2 ([NCT04251026](#)), il DNL310 è risultato sicuro e generalmente ben tollerato.

### Obiettivi

Trattamento delle manifestazioni sia periferiche che neurologiche e comportamentali di bambini e adolescenti affetti da Sindrome di Hunter.

### Caratteristiche dei partecipanti

Lo studio prevede l'arruolamento di circa 54 partecipanti (33 nella Coorte A e 21 nella Coorte B) che devono:

- avere una diagnosi confermata di sindrome di Hunter
- non aver ricevuto in precedenza terapia genica IDS o terapia con cellule staminali (HSCT)
- essere stati in terapia enzimatica standard (Elaprase®, idursulfase) per almeno 4 mesi; se naïve, avere un periodo di “run-in” con lo standard di cura (Elaprase®, idursulfase) per 4 mesi prima di essere randomizzati.

I pazienti randomizzati a ricevere la terapia sperimentale non avranno alcun periodo di wash-out.

| I partecipanti alla <b>Coorte A</b>                                                                                                                                                                                                                                                                                                   | I partecipanti alla <b>Coorte B</b>                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"><li>• devono avere un'età pari a <b>≥2 to &lt;6 anni</b> al momento della randomizzazione e avere il <u>fenotipo neuronopatico</u> della Sindrome di Hunter, determinato mediante test genetici e neurocognitivi</li><li>• la durata dello studio è pari a <b>96 settimane</b> (≈ 2 anni)</li></ul> | <ul style="list-style-type: none"><li>• devono avere un'età pari a <b>≥6 to &lt;17 anni</b> al momento della randomizzazione e avere il <u>fenotipo non-neuronopatico</u> della Sindrome di Hunter, determinato mediante test genetici e neurocognitivi</li><li>• la durata dello studio è pari a <b>48 settimane</b> (≈ 1 anno)</li></ul> |

### Tutti i partecipanti

- saranno randomizzati 2:1 a ricevere il DNL-310 o il trattamento standard di cura (Elaprase®, idursulfase)
- nel caso sia confermato un peggioramento clinico, potranno qualificarsi per accedere a una fase di switch del trattamento in cieco.

La partecipazione alla sperimentazione clinica COMPASS rappresenta un grande impegno per le famiglie e potrebbe comportare lunghi spostamenti; i partecipanti saranno rimborsati per viaggio, pasti e altre spese relative allo studio e potrà anche essere valutato il supporto per un trasferimento temporaneo.

### Centri attivi nell'arruolamento

Lo studio sta arruolando pazienti in tutto il mondo. **In Italia i due centri attivi sono:**

- Programma di Errori Congeniti del Metabolismo, Dipartimento di Pediatria, Azienda Ospedaliera Universitaria "Federico II". Prof. Parenti, Tel: +39 0817464364, 0817462673; email: [parenti@unina.it](mailto:parenti@unina.it)
- Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare, Azienda Sanitaria Universitaria Friuli Centrale (ASU FC). Prof. Scarpa, Tel: +39 0432559264; email: [maurizio.scarpa@asufc.sanita.fvg.it](mailto:maurizio.scarpa@asufc.sanita.fvg.it)