

Studio di Fase 2 con collirio a base di Nerve Growth Factor ricombinante umano (hr-NGF) in bambini ed adolescenti con deficit visivo indotto da glioma ottico

TIPOLOGIA DI STUDIO: Trial clinico di fase 2 con farmaco

PROMOTORE: UO Oncologia Pediatrica; Fondazione Policlinico Universitario A.Gemelli-IRCCS

PRINCIPAL INVESTIGATOR:

Prof. Antonio Ruggiero

UO Oncologia Pediatrica

Fondazione Policlinico A. Gemelli-IRCCS

antonio.ruggiero@unicatt.it

UO COINVOLTE

- UOC Oftalmologia
- UOC Radiologia
- Farmacia Interna

SINOSSI

TITOLO	Studio di Fase 2 con collirio a base di Nerve Growth Factor ricombinante umano (hr-NGF) in bambini ed adolescenti con deficit visivo indotto da glioma ottico (GVO)
OBIETTIVI	<p>Obiettivo primario:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Valutare l'efficacia nel migliorare le performance visive di rNGF somministrato in forma di collirio nei pazienti pediatrici con GVO. <p>Obiettivo secondario:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Valutare la sicurezza di rNGF collirio in pazienti pediatrici • Individuare potenziali fattori prognostici di risposta
DISEGNO DELLO STUDIO	I bambini riceveranno rNGF collirio per una dose totale di 0,1 mg frazionata in 6 somministrazioni giornaliere in 5 giorni e saranno sottoposti a controlli radiologici ed oculistici finalizzati a valutare l'efficacia e la sicurezza del farmaco in un arco temporale di 360 giorni.
POPOLAZIONE	Bambini ed adolescenti con GVO associato o meno ad NF1
REGIME TERAPEUTICO	rNGF collirio a concentrazione 20 µg/ml somministrato 1 goccia per occhio 6 volte al giorno per 5 giorni. Dose totale pari a 0.1 mg. Il trattamento verrà ripetuto a distanza di 30 giorni
CRITERI DI INCLUSIONE	<ul style="list-style-type: none"> • Diagnosi di GVO associata o meno a NF1; • Età compresa tra 2 e 25 anni; • Deficit visivo almeno pari alla percezione del moto della mano, mossa a distanza di circa 25 cm, in uno o entrambi gli occhi; • Assenza di trattamento radio chemioterapico in atto; • Trattamento radio chemioterapico concluso da almeno 12 mesi; • Stabilità GVO a 2 controlli di RM cerebrale eseguite ad almeno 6 mesi di distanza; • Assenza di infezioni oculari all'inizio del trattamento con rNGF.
CRITERI DI ESCLUSIONE	<ul style="list-style-type: none"> • Età inferiore a 2 anni o superiore a 25 anni; • Trattamento radio chemioterapico in atto; • Trattamento radio chemioterapico concluso da meno di 12 mesi; • Assenza di stabilità del GVO nei controlli RM cerebrali; • Presenza di infezioni oculari all'inizio del trattamento con rNGF.
Valutazione della :	
- EFFICACIA	Miglioramento delle funzioni visive valutate tramite campo visivo e Flicker-PEV
- SICUREZZA	Eventi avversi locali e sistemici

