Progetto Pharma-HUB

Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica

Obiettivo Specifico 4 (OS4). *Messa a punto di una piattaforma di sviluppo farmaceutico*

La strategia di riposizionamento di farmaci o di orphan drugs prevede sovente la necessità di applicare dosaggi differenti rispetto a quelli disponibili nei medicinali di uso clinico, dove spesso la somministrazione di frazioni di dose non è un’opzione praticabile. Tale modifica o aggiustamento del dosaggio configura la messa a punto di una nuova formulazione, che richiederà nuovi dati sulla sicurezza e l’efficacia, con conseguenti studi chimico-farmaceutici e tecnologici, di produzione e di controllo. Ovviamente, laddove anche la via di somministrazione di un farmaco riposizionato, rispetto ad un medicinale disponibile in commercio, venisse modificata, anche gli aspetti biofarmaceutici e farmacocinetici subiranno importanti modifiche che vanno valutate.
Questa fase operativa del progetto è finalizzata su più scopi:
1) (ri)formulazione galenica (su scala ridotta) di medicinali contenenti i farmaci individuati per il repurposing, in termini di dosaggio e/o forma farmaceutica idonea alla somministrazione pediatrica;
2) studi di scale-up per la successiva produzione industriale (in accordo con le GMP);
3) studi esplorativi per valutare l’utilità di forme innovative di rilascio e targeting cerebrale dei farmaci selezionati.

Tale OS verrà coordinata da UNICT (leader) con la partecipazione di UNIME