

## **PNOC016:**

### **Eine Zielvalidierungsstudie von Fimepinostat bei Kindern und jungen Erwachsenen mit neu diagnostiziertem diffusen intrinsischem Pons Gliom (DIPG), rezidivierendem Medulloblastom oder rezidivierendem hochgradigem Gliom (HGG)**

Dies ist eine multizentrische Ziel-Validierungsstudie zu Fimepinostat. Fimepinostat ist ein neuartiger oraler, potenter dualer pan-HDAC- und PI3K-Inhibitor, der eine breite Antitumoraktivität bei hämatologischen und soliden Tumoren gezeigt hat. Dieser Wirkstoff hemmt das Tumorstadium in vitro und in vivo stärker als HDAC- oder PI3K-Inhibitoren, die nur auf ein Ziel ausgerichtet sind. In Anbetracht der nachgewiesenen Chromatin- und PI3K-bezogenen Aktivität bei einer Reihe von pädiatrischen Hirntumoren und der präklinischen/klinischen vielversprechenden Eigenschaften von Fimepinostat ist dieses Medikament eine vielversprechende Strategie für eine erfolgreiche Behandlung von Kindern und jungen Erwachsenen mit Hirntumoren.

In diese Studie werden Kinder und junge Erwachsene (3-39 Jahre) mit neu diagnostiziertem DIPG, rezidivierendem Medulloblastom oder rezidivierendem HGG aufgenommen, bei denen im Rahmen der Standardbehandlung eine Gewebeentnahme durchgeführt wird. Die Patienten werden vor der Resektion/Biopsie mit der Behandlung beginnen und die Behandlung während einer Erhaltungsphase nach der Resektion/Biopsie fortsetzen.

#### **Welche Patienten können in die Studie aufgenommen werden?**

Patienten mit einem rezidivierendem Medulloblastom (WHO-Grad IV), beliebiger molekularer Subtyp.

Die Patienten sollten zwischen 3 und 39 Jahre alt sein, wenn sie sich für die Studie anmelden.

#### **Wie lange dauert die Studie und wie häufig werden die Untersuchungen durchgeführt?**

Die Patienten erhalten Fimepinostat im Rahmen der Studie bis zu 12 Monate lang ab dem Zeitpunkt des Behandlungsbeginns. Die Tumoroperation muss am Universitäts-Kinderspital Zürich durchgeführt werden. Während des ersten Zyklus (28 Tage) sind wöchentliche Besuche erforderlich. Sollten die Patienten weiterhin einen klinischen Nutzen haben und keine übermäßige Toxizität oder ein Fortschreiten der Erkrankung auftreten, können sie das Medikament bis zu 24 Monate oder länger erhalten.

#### **Kontakt**

Standort: Zürich, PI: PD Dr. Nicolas Gerber

Kontakt: [glioma@kispi.uzh.ch](mailto:glioma@kispi.uzh.ch)

#### **Weitere Informationen**

KOFAM: [Link](#)

Clinicaltrials.gov: [NCT03893487](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03893487)

## **PNOC016:**

### **A Target Validation Study of Fimepinostat in Children and Young Adults with Newly Diagnosed Diffuse Intrinsic Pontine Glioma (DIPG), Recurrent Medulloblastoma, or Recurrent High-Grade Glioma (HGG)**

This is a multi-center, target validation study of fimepinostat. Fimepinostat is a novel oral, potent dual pan-HDAC and PI3K inhibitor which has shown broad antitumor activity in hematologic and solid tumors. This drug demonstrates greater inhibition of tumor growth *in vitro* and *in vivo* than single-target HDAC or PI3K inhibitors. Given the evidence of chromatin and PI3K-related activity among a range of pediatric brain tumors and the preclinical/clinical promise of fimepinostat, this drug holds promise as a successful treatment strategy for children and young adults with brain tumors.

This study will include children and young adults (3-39 years of age) with newly diagnosed DIPG, recurrent medulloblastoma, or recurrent HGG who will undergo tissue collection as part of standard of care. Patients will initiate drug prior to resection/biopsy and continue drug during a maintenance phase after resection/biopsy.

#### **Which patients can be included in the trial?**

Patients with a recurrent medulloblastoma (WHO grade IV), any molecular subtype.

Patient should be between 3 and 39 year of age, when registering for the trial.

#### **How long does the study last and how frequent are the visits?**

Patients will receive fimepinostat on study for up to 12 months from the time treatment begins. Tumor surgery has to be performed at the University Children's Hospital Zurich. Weekly visits during the first cycle (28 days) are necessary. Should patients continue to derive clinical benefit, and not experience excess toxicity or progression, patients can continue to receive drug for up to 24 months or longer

#### **Contact**

Site: Zürich, PI: PD Dr. Nicolas Gerber

Contact: [glioma@kispi.uzh.ch](mailto:glioma@kispi.uzh.ch)

#### **More Information**

KOFAM: [Link](#)

Clinicaltrials.gov: [NCT03893487](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03893487)