

Maio 2018

PROGRAMA DE DESENVOLVIMENTO CLÍNICO DE ACONDROPLASIA DA BIOMARIN

Uma Atualização para Associações

A terapêutica experimental da BioMarin para acondroplasia, conhecida como vosoritide ou BMN 111, está num processo de ensaio clínico de fase 3. O processo de aprovação do ensaio clínico consiste em várias fases. Cada fase tem um objetivo de estudo diferente que tem impacto no número de participantes e outras características específicas.

Os detalhes do programa do BMN 111 podem ser encontrados abaixo, mas para a informação mais atualizada, consulte www.clinicaltrials.gov e introduza o código do estudo BMN111.

BMN 111-901: História Natural Não Interventiva Para recolher informação de situação basal

Desde abril de 2012, o estudo observacional tem estado a recolher medições de crescimento, classificações de qualidade de vida relacionadas com a saúde e outros detalhes, incluindo sintomas associados, doenças graves e grandes cirurgias.

Não é administrada qualquer terapêutica experimental a nenhum participante neste estudo, uma vez que o estudo procura recolher informação a utilizar como uma situação basal em comparação com informação dos ensaios da BioMarin que incluem uma terapêutica experimental (para crianças individuais e para todas as crianças no total).

O estudo BMN 111-901 está aberto a pessoas com idades compreendidas entre os 0 e os 18 anos e o objetivo é incluir um número igual de rapazes e raparigas.

O estudo está a decorrer na Austrália, Alemanha, Japão, Espanha, Turquia, Reino Unido e Estados Unidos.

Para consultar os critérios de elegibilidade mais detalhados e a informação atual sobre os centros de estudo observacionais, consulte: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01603095>

BMN 111-202 e BMN 111-205: Estudos de Fase 2 para avaliar a segurança, tolerabilidade e eficácia

O estudo de Fase 2, aberto, de escalonamento da dose da terapêutica experimental BMN 111-202 da BioMarin está agora concluído.

O termo aberto significa que tanto a equipa clínica como o participante sabem que tratamento está a ser administrado.

O BMN 111-205 é designado um estudo de extensão do BMN 111-202. Isto significa que após a

conclusão do estudo 111-202, os participantes podem continuar a receber o tratamento através do estudo 111-205.

Este ensaio está a decorrer na Austrália, França, Reino Unido e Estados Unidos.

Para informação adicional sobre o 111-202, consulte:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02055157>

Para informação adicional sobre o 111-205, consulte:

<https://clinicaltrials.gov/show/NCT02724228>

BMN 111–206: Estudo de Fase 2 em Bebés e Crianças Pequenas Para avaliar a segurança e a eficácia

Este estudo irá avaliar o efeito de BMN 111 em aproximadamente 70 bebés e crianças pequenas entre os 0 e os 5 anos. É um estudo multicêntrico, aleatorizado, controlado por placebo, com dupla ocultação. Isto significa que os participantes têm uma probabilidade igual de receber placebo (um tratamento inativo que se assemelha e é administrado da mesma forma que a terapêutica experimental) ou o medicamento experimental BMN 111. Não é conhecido se está a ser administrado placebo ou terapêutica experimental para prevenir o enviesamento.

Este ensaio está a iniciar na Austrália, Japão, Reino Unido e Estados Unidos. Os participantes têm de permanecer como residentes do país onde se inscreveram durante o período do ensaio.

BMN 111-301 e BMN 111-302: Estudos de Fase 3 para avaliar a eficácia e a segurança

A Fase 3 é um estudo multicêntrico, aleatorizado, controlado por placebo, em dupla ocultação para crianças e adolescentes com idades compreendidas entre os 5 e os 18 anos. Conforme acima explicado, isto significa que quem participa tem uma probabilidade igual de receber placebo ou o medicamento ativo. Nem o médico nem o participante irão saber se está a ser administrado o placebo ou o medicamento ativo.

- Os participantes completam um mínimo de 6 meses no ensaio observacional (111-901) antes de serem selecionados para participar neste ensaio de Fase 3 (111-301). Este ensaio dura 52 semanas.
- Os participantes que recebem placebo durante um ano no ensaio 111-301 poderão ser elegíveis para receber a terapêutica experimental ativa no ensaio de extensão 111-302.
- O resultado primário do ensaio é avaliar a alteração da taxa de crescimento, conforme medida por um cálculo de velocidade de crescimento anualizado (AVG). Os resultados secundários incluem medições de saúde através da avaliação de classificações de qualidade de vida relacionadas com a saúde, outros sintomas associados, qualidade do sono, bem como doenças e cirurgias graves.
- Os participantes têm de viver no país que está a realizar o ensaio durante o período do ensaio.



Os centros de ensaio para este estudo são na Austrália, Alemanha, Japão, Espanha, Turquia, Reino Unido e Estados Unidos.

Para mais informações, consulte: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT03197766>

BMN 111-501 The Lifetime Impact of Achondroplasia Study in Europe (LIAISE)

O estudo LIAISE (Estudo sobre o Impacto da Acondroplasia no Tempo de Vida na Europa) é um estudo observacional que observa o impacto clínico, socioeconómico e psicossocial em pessoas que vivem com acondroplasia.

- A participação neste estudo é feita através do preenchimento de um questionário.
- O participante tem de ter entre 5 e 70 anos. Os prestadores de cuidados podem preencher o questionário se a pessoa que vive com acondroplasia tiver menos de 18 anos.
- Os médicos irão rever pelo menos 5 anos de dados clínicos de históricos dos participantes.

Este estudo está a recrutar até 300 participantes na Alemanha, Itália, Espanha, Dinamarca e Suécia.

Para mais informações, consulte: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Reunião do Comité Consultivo nos Estados Unidos

A 11 de maio de 2018, a Food and Drug Administration (FDA), nos EUA, organizou uma reunião conjunta do Pediatric Advisory Committee (PAC [Comité Consultivo Pediátrico]) e do Endocrinologic and Metabolic Drugs Advisory Committee (EMDAC [Comité Consultivo sobre Medicamentos Endocrinológicos e Metabólicos]) para discutir o desenvolvimento para o tratamento de crianças com acondroplasia. Os comités consultivos fornecem à FDA pareceres independentes de especialistas externos. Em geral, os comités consultivos incluem um presidente, vários membros, além de um representante dos consumidores, do setor e, por vezes, dos doentes. Podem acrescentar-se especialistas adicionais com conhecimentos especiais para reuniões individuais dos comités conforme necessário. Embora os comités forneçam aconselhamento à agência, a FDA toma as decisões finais.

A reunião do PAC/EMDAC para a acondroplasia incluiu uma sessão aberta de 5 horas onde mais de 30 oradores do público fizeram declarações pessoais. O objetivo da reunião era estabelecer resposta em função da dose, abordagens ao desenho do estudo, duração adequada do estudo, população a que se destina e parâmetros de avaliação clinicamente significativos no desenvolvimento clínico de terapêuticas para crianças com acondroplasia.

A FDA planeia publicar webcasts arquivados após a reunião e pode encontrar informação adicional aqui <https://www.fda.gov/AdvisoryCommittees/Calendar/ucm606028.htm>



Para questões de organizações de defesa, contacte patientadvocacy@bmrn.com. Para mais informação sobre estudos clínicos da BioMarin, consulte www.clinicaltrials.gov ou contacte a Informação Médica da BioMarin em medinfoeu@bmrn.com ou por telefone: Número gratuito 00800 742 46627.