

Aggiornamento per le associazioni acondroplasiche

BioMarin è un'azienda farmaceutica internazionale che vanta oltre 20 anni di esperienza nello sviluppo di farmaci per malattie genetiche rare.

Siamo in fase di sviluppo avanzata di un farmaco sperimentale per l'acondroplasia chiamato vosoritide. Un farmaco sperimentale è un medicinale che viene studiato per capire se è sicuro ed efficace per trattare una particolare patologia. I risultati di questi studi saranno sottoposti al vaglio delle autorità di regolamentazione che decideranno di conseguenza se approvare o meno la commercializzazione del farmaco. BioMarin ha intenzione di presentare i dati di questi studi alle autorità di regolamentazione nel 2020.

Negli studi clinici di BioMarin sono stati arruolati oltre 500 bambini affetti da acondroplasia provenienti da 8 paesi diversi. Questi bambini e le loro famiglie sono stati essenziali per le ricerche in corso sulla sicurezza e l'efficacia di vosoritide. Siamo incredibilmente grati a tutti coloro che partecipano ai nostri studi clinici.



Studi clinici in corso

111-901: studio osservazionale

Lo studio 111-901 rimarrà aperto per arruolamenti fino al 2020. Questo studio non comporta l'uso di un farmaco sperimentale.

I dati di questo studio saranno confrontati con i dati degli studi BioMarin in cui i partecipanti vengono trattati con vosoritide al fine di comprendere meglio gli effetti del farmaco sperimentale.



Per ulteriori informazioni sullo studio 111-901, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01603095>

Studi clinici 111-206 e 111-208:

Gli studi 111-206 e 111-208 rimarranno aperti per arruolamenti fino alla fine del 2020. La durata prevista dello studio 111-206 è di un anno, mentre la durata prevista dello studio 111-208 è più di un anno. Questi studi clinici sono stati concepiti per analizzare come vosoritide influisce sulla sicurezza dei partecipanti nonché i suoi effetti sulla crescita, sulla necessità di interventi chirurgici, sulla salute delle ossa e sulla qualità della vita.

(continua)

Lo studio intende misurare inoltre gli effetti di vosoritide sui seguenti parametri dei partecipanti:

- Proporzionalità dei segmenti e degli arti del corpo
- Curvatura delle gambe, estensione dei gomiti e apertura (lunghezza) delle braccia
- Funzionalità delle anche e dolore articolare
- Apnea notturna
- Qualità di vita legata alla salute e capacità di svolgere le attività quotidiane



Per ulteriori informazioni sullo studio 111-206, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03583697>

Per ulteriori informazioni sullo studio 111-208, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03989947>

Studi 111-501 e 111-502: studi osservazionali sull'impatto nell'arco della vita

Lo studio 111-501 (LIAISE) rimarrà aperto per arruolamenti fino alla fine del 2019 mentre lo studio 111-502 (LISA) rimarrà aperto per arruolamenti fino al mese di giugno 2020. Questo studio richiede meno di un giorno e non comporta l'uso di un farmaco sperimentale.

Questi studi si prefiggono di capire meglio come ci si sente a vivere con l'acondroplasia, cercando di identificare le tendenze della salute dall'infanzia fino all'età adulta. Queste informazioni potrebbero eventualmente migliorare l'assistenza.



Per ulteriori informazioni sullo studio 111-501 (LIAISE), visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Per ulteriori informazioni sullo studio 111-502 (LISA), visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03872531>

Studi tuttora in corso, con arruolamenti completati

Studi 111-301 e 111-302: studi clinici



Gli arruolamenti in questi studi di fase 3 sono stati ultimati e BioMarin ha annunciato i risultati relativi agli endpoint primari. L'azienda intende presentare informazioni più dettagliate in occasione di un prossimo convegno clinico.

Questi studi clinici sono stati concepiti per analizzare come vosoritide influisce sulla sicurezza dei partecipanti nonché i suoi effetti sulla crescita, sulla necessità di interventi chirurgici, sulla salute delle ossa e sulla qualità della vita.

Lo studio intende misurare inoltre gli effetti di vosoritide sui seguenti parametri dei partecipanti:

- Proporzionalità dei segmenti e degli arti del corpo
- Curvatura delle gambe, estensione dei gomiti e apertura (lunghezza) delle braccia

(continua)

- Patologie importanti
- Qualità di vita legata alla salute e capacità di svolgere le attività quotidiane



Per ulteriori informazioni sullo studio 111-301, visitare il sito:
<https://clinicaltrials.gov/show/NCT03197766>

Per ulteriori informazioni sullo studio 111-302, visitare il sito:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

Studi 111-202 e 111-205: studio di ricerca della dose e di estensione

BioMarin ha completato lo studio 111-202 di valutazione della dose e sta attualmente seguendo tutti i partecipanti nello studio di estensione a lungo termine chiamato 111-205.

- Tutti i partecipanti ricevono il farmaco sperimentale vosoritide.



Per ulteriori informazioni sullo studio 111-202, visitare il sito:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02055157>

Per ulteriori informazioni sullo studio 111-205, visitare il sito:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02724228>