

Novembre 2017

PROGRAMMA BIOMARIN DI SVILUPPO CLINICO SULL'ACONDROPLASIA

Aggiornamento per associazioni e famiglie

BioMarin Pharmaceutical Inc. (BioMarin) è una società di biotecnologie a livello mondiale con esperienza ventennale nel rispondere ai bisogni complessi delle persone, spesso bambini, con patologie rare. Ci focalizziamo su famiglie e bambini affetti dalle condizioni a cui lavoriamo e per le quali intendiamo comunicare con le comunità che serviamo regolarmente. Pertanto, descriviamo nel documento di seguito l'attuale stato del programma clinico sull'acondroplasia. La terapia sperimentale di BioMarin per l'acondroplasia, BMN 111, è attualmente in fase di sperimentazione e non è stata approvata per l'uso in nessun Paese.

111-901:

Sperimentazione osservazionale multinazionale, aperta dalla nascita fino all'età di 17 anni. Lo studio osservazionale in corso sta raccogliendo le misurazioni relative alla crescita, i punteggi della qualità della vita correlata alla salute e altri dettagli tra cui sintomi associati, malattie e interventi chirurgici principali fino a 7 anni. Queste informazioni al basale possono quindi essere messe a confronto con quelle della sperimentazione di BioMarin che includono la terapia sperimentale (sia per i bambini singoli che per tutti i bambini in totale). La sperimentazione mira ad arruolare un numero equo di maschi e femmine ed è in corso dall'aprile 2012; quindi alcuni bambini sono nella sperimentazione da diversi anni. In questa sperimentazione i partecipanti non ricevono la terapia sperimentale.

Detta sperimentazione è in corso in molti Paesi, tra cui Australia, Francia, Germania, Regno Unito, Spagna, Stati Uniti e Turchia. Per maggiori dettagli sui criteri di eleggibilità e informazioni aggiornate sui centri, si prega di visitare: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT01603095>

111-202:

Studio in aperto con incremento progressivo della dose di terapia sperimentale di BioMarin, ora completo. La dicitura "in aperto" sta ad indicare che sia il personale clinico sia i partecipanti conoscono quale trattamento verrà somministrato. Circa 30 partecipanti tra i 5 e i 14 anni di età hanno ricevuto uno dei tre diversi regimi di dosaggio di BMN 111. La sperimentazione è avvenuta in Australia, Francia, Regno Unito e Stati Uniti. Per ulteriori informazioni, si prega di visitare: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02055157>

111-205:

Studio di estensione per partecipanti che hanno completato due anni di trattamento nello studio 111-202. L'obiettivo primario consiste nel valutare la tollerabilità e sicurezza a lungo termine di iniezioni sottocutanee giornaliere di BMN 111, la terapia sperimentale di BioMarin per l'acondroplasia. L'arruolamento di questa sperimentazione è stato completato a ottobre 2017. Per maggiori informazioni, si prega di visitare: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT02724228>

111-301:

La terza sperimentazione in corso è la nostra sperimentazione di Fase 3, controllata con placebo. Questa sperimentazione è aperta ai pazienti dai 5 ai 17 anni di età e comprende circa 110 partecipanti. In questa sperimentazione, i partecipanti hanno la probabilità pari e randomizzata di ricevere il placebo o BMN 111. L'esito primario della sperimentazione è la valutazione del cambiamento nel tasso di crescita o la variazione in altezza. Gli esiti secondari includono misurazioni della salute attraverso la valutazione dei punteggi della qualità della vita correlata alla salute, altri sintomi associati, la qualità del sonno, nonché le malattie e gli interventi chirurgici principali. Questa sperimentazione dura 52 settimane e i partecipanti dovranno completare un minimo di 6 mesi nella sperimentazione osservazionale (111-901) prima che possano essere sottoposti allo screening per la sperimentazione di Fase 3 (111-301). I partecipanti con placebo possono ricevere la terapia sperimentale dopo che è stato completato il periodo di sperimentazione di un anno. Per maggiori informazioni, si prega di visitare: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT03197766>

111-501:

Lo Studio sull'impatto dell'acondroplasia sulla vita in Europa (Lifetime Impact of Achondroplasia Study in Europe, LIAISE) è uno studio osservazionale che considera l'impatto sulla qualità della vita, l'uso di risorse sanitarie, lo stato clinico, socioeconomico e psicosociale dei soggetti che vivono con l'acondroplasia. Gran parte degli studi effettuati in passato ha preso in considerazione solo i bambini affetti da acondroplasia, ma riteniamo che sia importante capire l'impatto di tale condizione nel corso della vita. Questo studio sta arruolando un massimo di 300 partecipanti tra i 5 e i 70 anni di età e verrà aperto nei seguenti Paesi da qui fino all'inizio del 2018: Danimarca, Germania, Italia, Spagna e Svezia. La partecipazione allo studio includerà una revisione di 5 anni dei dati clinici storici e dei dati ottenuti utilizzando questionari.

In aggiunta agli studi sopra elencati, BioMarin prevede di effettuare uno studio di Fase 2 separato, per valutare l'effetto di BMN 111 in neonati e bambini fino ai 36 mesi. Saranno disponibili maggiori informazioni relative a questo studio all'inizio del 2018.



Per BioMarin, la Sua esperienza personale e la Sua conoscenza dell'acondroplasia sono importanti. Per richieste di organizzazioni patrocinanti, contattare patientadvocacy@bmrn.com. Per ulteriori informazioni sugli studi clinici di BioMarin, si prega di visitare il sito www.clinicaltrials.gov o contattare l'ufficio di Informazioni Mediche di BioMarin all'indirizzo medinfoeu@bmrn.com o via telefono: numero verde: 00800 742 46627