

Novembre 2018

PROGRAMMA DI SVILUPPO CLINICO SULL'ACONDROPLASIA

Aggiornamento per le associazioni

BioMarin è un'azienda farmaceutica internazionale che vanta 20 anni di esperienza nello sviluppo di farmaci per malattie genetiche rare. Il processo di sviluppo di BMN 111, il farmaco sperimentale di BioMarin per l'acondroplasia, è oggetto di studi clinici di fase III, pertanto ha raggiunto uno stadio avanzato.

La sicurezza e l'efficacia di BMN 111 sono attualmente in fase di valutazione in studi clinici in corso e non sono state stabilite. L'uso di BMN 111 al di fuori di studi clinici non è stato approvato in alcun paese. Al termine degli studi clinici, BioMarin potrà presentare domanda di approvazione per BMN 111 e le autorità valuteranno i dati sulla sicurezza e sull'efficacia e determineranno se tale farmaco potrà essere immesso in commercio in un determinato paese.

I centri di studio sotto indicati richiedono che i partecipanti risiedano nel paese in cui viene condotto lo studio.

Per noi la comunicazione è molto importante. Si prega di contattarci in caso di dubbi o se si desidera esporre la propria opinione.

- *Per ulteriori informazioni sugli studi clinici di BioMarin:*
 - *Visitare il sito www.clinicaltrials.gov e digitare il codice dello studio BMN111*
 - *Inviare un'e-mail al servizio di informazioni mediche di BioMarin all'indirizzo medinfoeu@bmrn.com, o al servizio di supporto per i pazienti all'indirizzo patientadvocacy@bmrn.com*
 - *Telefonare al servizio di informazioni mediche di BioMarin, contattando il numero verde 00800-742-46627*

BMN 111-901:

Studio osservazionale volto a raccogliere informazioni di base

Uno studio che osserva le variazioni di una condizione nel corso del tempo viene spesso definito "osservazionale" o "non interventistico" poiché i partecipanti non ricevono un farmaco sperimentale. Questi studi consentono di confrontare gli effetti eventualmente osservati in uno studio clinico su un farmaco sperimentale.

Lo studio osservazionale BMN 111-901 raccoglie informazioni da aprile 2012 al fine di approfondire e documentare l'impatto dell'acondroplasia.

- È aperto a persone da 0 a 18 anni di età
- Si propone di arruolare un numero uguale di soggetti di sesso maschile e femminile
- Prevede misurazioni che includono la crescita e la qualità della vita correlata alla salute (ad es. malattie e interventi chirurgici maggiori)
- Sono inclusi centri dislocati in Australia, Germania, Giappone, Regno Unito, Spagna, Stati Uniti e Turchia



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

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

BMN 111-202 e BMN 111-205:

Studi di fase II volti a valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia

BioMarin ha completato lo studio BMN 111-202 di valutazione della dose e sta attualmente seguendo tutti i partecipanti nello studio di estensione BMN 111-205. Tutti i partecipanti a tale studio stanno ricevendo BMN 111.

- Sono inclusi centri dislocati in Australia, Francia, Regno Unito e Stati Uniti
- I dati raccolti tramite questi studi sono stati recentemente presentati in occasione di riunioni della European Society for Paediatric Endocrinology (Società europea di endocrinologia pediatrica, ESPE) e della Japanese Society for Pediatric Endocrinology (Società giapponese di endocrinologia pediatrica, JSPE)

Per ulteriori informazioni sullo studio BMN 111-202, visitare il sito:

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

Per ulteriori informazioni sullo studio BMN 111-205, visitare il sito:

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

BMN 111-206 e BMN-208:

Studi di fase II su neonati e bambini volti a valutare la sicurezza e l'efficacia

Lo studio su neonati e bambini è iniziato nel maggio 2018.

- È aperto a bambini di età pari a 0-5 anni, i quali sono suddivisi in tre fasce di età:
 - Da 2 a 5 anni
 - Da 6 mesi a 2 anni
 - Da 0 a 6 mesi
- L'obiettivo primario dello studio BMN 111-206 è valutare la sicurezza e la crescita
- Gli esiti secondari includono misurazioni della crescita e dello stato di salute, tra cui stato di salute delle ossa, funzionalità dell'anca e dolore articolare
- Per un anno, una metà dei partecipanti riceve il placebo (sostanza inattiva) e l'altra metà il farmaco sperimentale
- Dopo un anno, tutti i partecipanti riceveranno il farmaco sperimentale nello studio di estensione BMN 111-208
- Poiché lo studio è in cieco, né i partecipanti né i medici sapranno se il partecipante ha ricevuto il placebo oppure no
- Durante il trattamento con il farmaco sperimentale, i partecipanti devono risiedere nel paese in cui viene condotto lo studio
- I partecipanti devono essere innanzitutto arruolati nello studio osservazionale (BMN 111-901) prima di poter essere sottoposti a screening per partecipare allo studio su neonati e bambini



Sono inclusi centri dislocati in Australia, Giappone, Regno Unito e Stati Uniti.

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

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

BMN 111-301 e BMN 111-302: Studi di fase III volti a valutare l'efficacia e la sicurezza

Gli studi di fase III rappresentano l'ultima fase dello sviluppo. L'arruolamento nello studio BMN 111-301 di fase III è stato completato.

- Sono arruolati soggetti di età compresa tra 5 e 18 anni
- Lo scopo primario dello studio BMN 111-301 è valutare se BMN 111 riesca ad aiutare i bambini a crescere più velocemente rispetto al placebo nell'arco di 1 anno (velocità di crescita annualizzata o AGV, dall'inglese *Annualised Growth Velocity*)
- Gli esiti secondari includono misurazioni della sicurezza e dello stato di salute mediante la valutazione della qualità del sonno, di malattie maggiori, di interventi chirurgici necessari, della qualità della vita correlata alla salute e delle variazioni delle proporzioni corporee
- Per un anno, una metà dei partecipanti riceve il placebo (sostanza inattiva) e l'altra metà il farmaco sperimentale
- Dopo un anno, tutti i partecipanti riceveranno il farmaco sperimentale nello studio di estensione BMN 111-302
- Anche questo studio è in cieco

Sono inclusi centri dislocati in Australia, Germania, Giappone, Regno Unito, Spagna, Stati Uniti e Turchia.

Per ulteriori informazioni sullo studio BMN 111-301, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/show/NCT03197766>

Per ulteriori informazioni sullo studio BMN 111-302, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

BMN 111-501: Studio sull'impatto dell'acondroplasia sulla vita condotto in Europa, alias LIAISE

Lo studio LIAISE raccoglie informazioni su:

- Tipi di interventi medici e clinici, come ad esempio il numero di visite mediche
- Qualità della vita dei soggetti e dei prestatori di cure
- Impatto su istruzione, impiego e vita sociale

La partecipazione a questo studio comporta la compilazione di un questionario e il consenso all'esame dei dati clinici storici relativi ad almeno gli ultimi cinque anni.

- È aperto a 300 partecipanti di età compresa tra 5 e 70 anni
- Il questionario può essere compilato dai prestatori di cure se il soggetto affetto da acondroplasia ha meno di 18 anni
- Sono inclusi centri dislocati in Danimarca, Germania, Italia, Spagna e Svezia



Per ulteriori informazioni sullo studio LIAISE, visitare il sito:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368?term=NCT03449368&rank=1>