

Aggiornamento per le associazioni sull'acondroplasia

BioMarin è un'azienda farmaceutica di livello globale con oltre 20 anni di esperienza nello sviluppo di farmaci per malattie genetiche rare.

BioMarin ha annunciato la presentazione di una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio (Marketing Authorization Application, MAA) all'Agenzia Europea per i medicinali (European Medicines Agency, EMA) per vosoritide, un farmaco sperimentale per l'acondroplasia. Un farmaco sperimentale è un farmaco che è studiato per vedere se è sicuro ed efficace per trattare una particolare patologia. Vosoritide non è stato approvato per l'uso o ritenuto essere sicuro o efficace. BioMarin ha presentato dati che saranno ora esaminati da autorità regolatorie che decideranno se approvare il farmaco per l'immissione in commercio.

Più di 500 bambini/e con acondroplasia provenienti da 8 Paesi sono stati/e arruolati/e negli studi clinici di BioMarin. Questi/e bambini/e e le loro famiglie sono stati fondamentali per la ricerca in corso sull'acondroplasia e sulla sicurezza e l'efficacia di vosoritide. Siamo incredibilmente grati a tutti coloro che partecipano ai nostri studi clinici.

Studi in corso, arruolamento aperto



111-901: uno studio osservazionale

111-901 è aperto per l'arruolamento su invito. Lo studio non coinvolge un farmaco sperimentale. I dati provenienti da questo studio saranno confrontati con i dati provenienti dagli studi di BioMarin che trattano i/le partecipanti con vosoritide per comprendere meglio gli effetti del farmaco sperimentale.



Per maggiori informazioni su 111-901, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01603095>

111-206 e 111-208: studi clinici

111-206 e 111-208 saranno aperti per l'arruolamento fino al 2020. Questi studi clinici sono progettati per studiare la sicurezza e l'effetto di vosoritide sulla crescita dei/delle partecipanti, la necessità di interventi chirurgici, la salute delle ossa e la qualità della vita.

- Età da 0 a 5 anni, in tre gruppi di età (da 0 a 6 mesi, da 6 mesi a 2 anni, da 2 a 5 anni)
- L'arruolamento nello studio 111-206 è attualmente aperto per neonati di età pari o inferiore a 3 mesi
- Per un anno, metà dei partecipanti assume il placebo (sostanza inattiva) e metà assume il farmaco sperimentale
- Durante il primo anno, lo studio è in cieco, il che significa che né i partecipanti né i medici sanno se il/la partecipante ha ricevuto un placebo o meno
- Dopo un anno, tutti i/le partecipanti riceveranno il farmaco sperimentale nello studio di estensione BMN 111-208



Per maggiori informazioni su 111-206, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03583697>

Per maggiori informazioni su 111-208, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03989947>

111-501 e 111-502: studi osservazionali sull'impatto nel corso della vita

111-501 (LIAISE) è chiuso per l'arruolamento e 111-502 (LISA) è aperto per l'arruolamento fino a dicembre 2020. Lo studio durerà meno di un giorno e non coinvolge un farmaco sperimentale. Questi studi mirano a comprendere meglio cosa voglia dire convivere con l'acondroplasia per trovare le tendenze della salute dall'infanzia all'età adulta. Queste informazioni potrebbero infine portare a cure migliori.



Per maggiori informazioni su 111-501 (LIAISE), si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Per maggiori informazioni su 111-502 (LISA), si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03872531>

Studi in corso, arruolamento completo

111-301 e 111-302: studi clinici

L'arruolamento per lo studio di fase 3 di sicurezza e l'efficacia 111-301 è ora completo e BioMarin ha annunciato i risultati dell'endpoint primario. Attualmente, tutti/e i/le partecipanti sono seguiti/e nello studio di estensione a lungo termine chiamato 111-302.



Per ulteriori informazioni su 111-301, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/show/NCT03197766>

Per maggiori informazioni su 111-302, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

111-202 e 111-205: Studi di estensione e di determinazione della dose

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



Per maggiori informazioni su 111-202, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02055157>

Per maggiori informazioni su 111-205, si prega di visitare:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02724228>

Per informazioni aggiuntive sugli studi clinici di BioMarin sull'acondroplasia:



• Visitare www.clinicaltrials.gov e digitare il codice dello studio BMN 111



• Per richieste o per fornire pareri da parte di organizzazioni di supporto ai/alle pazienti, si prega di contattare l'indirizzo patientadvocacy@bmrn.com

• Contattare le Informazioni Mediche di BioMarin a:
medinfoeu@bmrn.com