

Aggiornamento per le associazioni sull'acondroplasia

Aggiornamento sulla sperimentazione clinica



111-209: Studio di Fase 2 su bambini a rischio di sottoporsi a intervento chirurgico di decompressione cervicomidollare

È aperto l'arruolamento per 111-209. Lo studio mira a valutare la sicurezza e l'efficacia di vosoritide nei bambini che rischiano di sottoporsi a un intervento chirurgico di decompressione cervicomidollare.

- 20 bambini, di età compresa tra 0 a 12 mesi
- Per 2 anni, metà dei/delle partecipanti riceverà lo standard di cura e l'altra metà riceverà lo standard di cura più il farmaco sperimentale
- Trascorsi i 2 anni, tutti/e i/le partecipanti riceveranno il farmaco sperimentale nello studio di estensione che avrà una durata di altri 3 anni
- Lo studio è in aperto, il che significa che i/le partecipanti e i medici sapranno se il/la partecipante riceverà il farmaco sperimentale
- Centri in Australia e nel Regno Unito (i/le partecipanti devono vivere in prossimità del centro di sperimentazione)



Per maggiori informazioni su 111-209, si prega di visitare:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04554940>



Publicazioni e presentazioni

111-301: Studio clinico di fase 3

Sono stati condivisi recentemente gli ultimi risultati di BMN 111-301, lo studio clinico di fase 3.

- *The Lancet* ha pubblicato un articolo con revisione paritaria, "Once-Daily, Subcutaneous Vosoritide Therapy in Children with Achondroplasia (Terapia con somministrazione unica giornaliera di vosoritide per via sottocutanea in bambini con acondroplasia)". Gli autori includono il Dott. Ravi Savarirayan del Murdoch Children's Research Institute e la Dott.ssa Melita Irving dell'Evelina Children's Hospital.
- Le presentazioni sono avvenute nell'ambito del Congresso virtuale 2020 dell'American Society of Bone and Mineral Research (ASBMR) (Società americana per la ricerca sulle ossa e sul metabolismo dei minerali) e del Simposio della Pediatric Endocrine Society (PES) (Società di endocrinologia pediatrica).



Per maggiori informazioni su 111-301, si prega di visitare:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03197766>

Aggiornamento per le associazioni sull'acondroplasia



Per ulteriori informazioni sugli studi clinici di BioMarin:

- 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/pazienti, si prega di contattare l'indirizzo patientadvocacy@bmrn.com
- Contattare l'ufficio Informazioni Mediche di BioMarin all'indirizzo medinfoeu@bmrn.com