



Novembro de 2017

PROGRAMA DE DESENVOLVIMENTO CLÍNICO DE ACONDROPLASIA DA BIOMARIN

Uma Atualização para Associações e Famílias

BioMarin Pharmaceutical Inc. (BioMarin) é uma empresa de biotecnologia global com duas décadas de experiência a abordar necessidades complexas de pessoas, frequentemente crianças, com doenças raras. Dedicamo-nos às famílias e crianças afetadas pelas condições nas quais trabalhamos e pretendemos comunicar com as comunidades que servimos numa base regular. Como tal, o estado atual do programa clínico de acondroplasia está descrito no documento abaixo. A terapêutica experimental da BioMarin para a acondroplasia, BMN 111, está atualmente em investigação e ainda não foi aprovada para utilização em país algum.

111-901:

Um ensaio observacional multinacional aberto desde o nascimento aos 17 anos de idade. O ensaio observacional em curso encontra-se a recolher medições de crescimento, resultados de qualidade de vida relacionados à saúde e outros detalhes, incluindo sintomas associados, doenças graves e cirurgias durante até 7 anos. Esta informação de situação basal pode então ser comparada com informação do ensaio da BioMarin que inclui uma terapêutica experimental (tanto para crianças individuais como para todas as crianças no total). O ensaio pretende incluir um número igual de rapazes e raparigas e está em curso desde abril de 2012, logo algumas crianças estão no ensaio há vários anos. Neste ensaio, os participantes não recebem a terapêutica experimental.

Este ensaio está em curso em muitos países, incluindo os EUA, Austrália, França, Alemanha, Espanha, Turquia e Reino Unido. Para consultar os critérios de elegibilidade mais detalhados e a informação atual sobre os centros, visite:

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

111-202:

Um estudo aberto de escalonamento da dose da terapêutica experimental da BioMarin, agora concluído. O termo aberto significa que tanto a equipa clínica como o participante sabem que tratamento está a ser administrado. Aproximadamente 30 participantes entre os 5 e os 14 anos de idade receberam um de três regimes posológicos diferentes de BMN 111. O ensaio ocorreu nos EUA, França, Austrália e Reino Unido. Para informação adicional, visite:

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



111-205:

Um estudo de extensão para participantes que tenham concluído dois anos de tratamento no estudo 111-202. O objetivo primário é avaliar a segurança e tolerabilidade de longo prazo de injeções subcutâneas diárias de BMN 111, a terapêutica experimental da BioMarin para a acondroplasia. Este ensaio foi totalmente inteiramente inscrito à data de outubro de 2017. Para informação adicional, visite:

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

111-301:

O terceiro ensaio em curso é o nosso ensaio de Fase 3 controlado por placebo. Este ensaio está aberto a doentes com idades entre os 5 e os 17 anos e inclui aproximadamente 110 participantes. Neste ensaio, os participantes foram aleatorizados e têm uma probabilidade igual de receber placebo ou BMN 111. O resultado primário do ensaio é avaliar a alteração na taxa de crescimento ou alteração na altura. Os resultados secundários incluem medidas de saúde através da avaliação de resultados de qualidade de vida relacionados à saúde, outros sintomas associados, qualidade do sono, bem como doenças graves e cirurgias. Este ensaio tem uma duração de 52 semanas e os participantes terão de concluir um mínimo de 6 meses no ensaio observacional (111-901) antes de serem selecionados para o ensaio de Fase 3 (111-301). Os participantes em placebo podem receber a terapêutica experimental depois de o período de ensaio de um ano estar concluído. Para mais informações, visite:

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

111-501:

O Estudo de Impacto no Tempo de Vida de Acondroplasia na Europa (LIAISE, Lifetime Impact of Achondroplasia Study in Europe) é um estudo observacional que observa o impacto na qualidade de vida, utilização de recursos de saúde, estado clínico, sócio-económico e psicossocial de indivíduos que vivem com acondroplasia. A maioria dos estudos realizados no passado observaram apenas crianças que vivem com acondroplasia, no entanto, acreditamos que é importante compreender o impacto da condição no tempo de vida. Este estudo está a recrutar até 300 participantes entre os 5 e os 70 anos de idade e estará aberto nos seguintes países, entre agora e início de 2018: Alemanha, Espanha, Itália, Suécia e Dinamarca. A participação no estudo, irá incluir uma revisão de 5 anos de dados clínicos históricos, bem como os dados obtidos usando questionários.

Além dos estudos descritos acima, a BioMarin está a planear um estudo separado de Fase 2 avaliando o efeito de BMN 111 em bebés e crianças pequenas. Mais informação sobre este estudo estará disponível no início de 2018.



A BioMarin valoriza a sua experiência e conhecimento sobre a acondroplasia. Para questões de organizações de defesa, contacte patientadvocacy@bmrn.com. Para mais informação sobre estudos clínicos da BioMarin, visite www.clinicaltrials.gov ou contacte a Informação Médica da BioMarin em medinfoeu@bmrn.com ou por telefone: Número de telefone gratuito: 00800 742 46627