



Estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL

Esta descripción general redactada en lenguaje sencillo contiene información sobre la acondroplasia (ACH) e infigratinib, un medicamento en investigación que se toma por vía oral.¹

El **programa de desarrollo clínico de PROPEL** incluye la investigación en curso de los efectos del fármaco del estudio en **niños con ACH mayores de 3 años pero menores de 18**.¹⁻⁴

Los resultados de esta investigación han contribuido a sentar las bases del **estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL**, que está estudiando actualmente el fármaco en **niños menores de 3 años con ACH**.⁵

Esta descripción general explica cómo está diseñado el estudio y por qué los investigadores están evaluando el medicamento en investigación en lactantes y niños pequeños.

Esta información es de carácter general y no tiene por objeto la inscripción de participantes.

Infigratinib es un medicamento en investigación que no ha sido aprobado por la EMA, la FDA estadounidense ni ninguna autoridad de registro sanitario. Se desconoce su seguridad y eficacia.

¿Qué es la ACH?

La ACH es el tipo más común de displasia esquelética, una enfermedad que afecta al crecimiento de los huesos y los cartílagos.⁶⁻⁹

Ocurre aproximadamente en 1 de cada 25 000 nacimientos.⁷

La ACH es una enfermedad genética, pero no siempre es hereditaria. Alrededor del 80 % de las personas con ACH nacen de padres de estatura media.^{6,7}

La ACH se produce debido a un cambio en un gen denominado receptor 3 del factor de crecimiento de fibroblastos (*FGFR3*). Este cambio hace que el crecimiento óseo se ralentice, lo que puede dar lugar a una estatura baja desproporcionada y puede contribuir a ciertas características físicas, como⁶⁻⁸:



Alrededor de
1 de cada 25 000
nacimientos⁷



Alrededor del
80 % nacidos de
padres de estatura
media^{6,7}

**Cabeza más grande y
frente prominente**

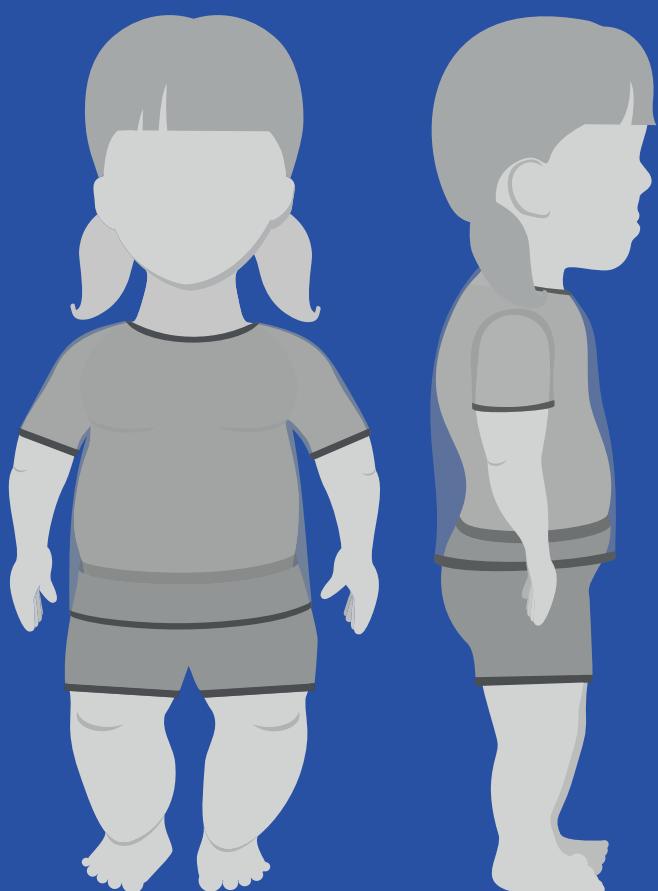
Puente nasal aplanado

Brazos y piernas más cortos
(en comparación con el torso)

Manos cortas y anchas
(a veces con espacio extra entre
el dedo corazón y el cuarto dedo)

Piernas arqueadas

**Curvatura o estrechamiento de
la columna vertebral**



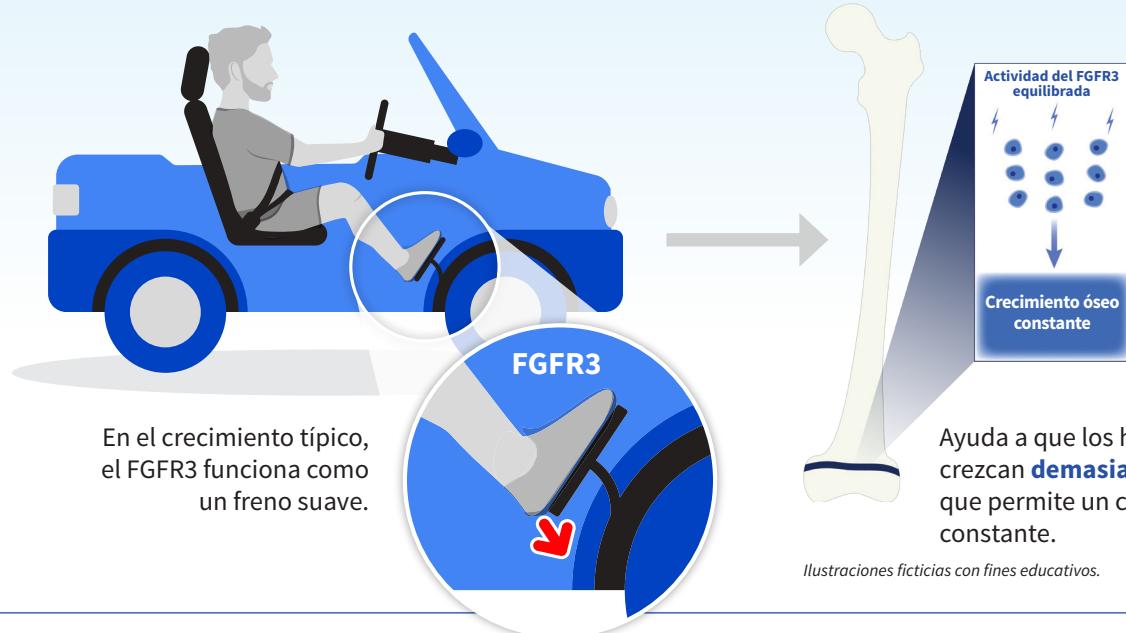
**Altura media en
adultos con ACH⁷**

Mujeres: 125 cm

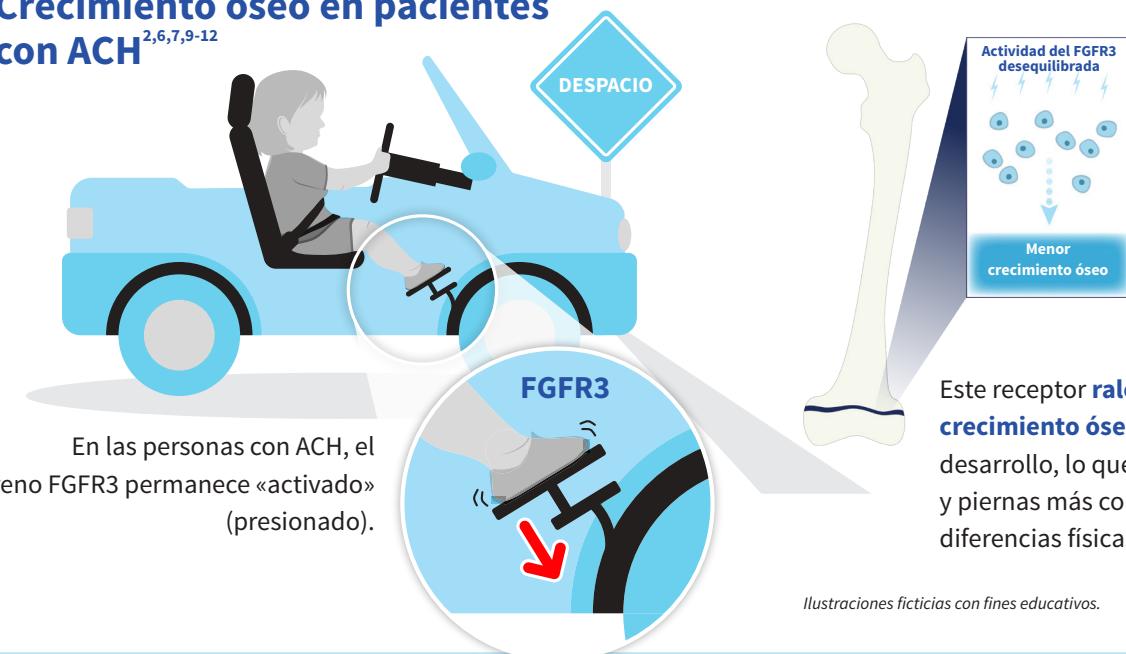
Hombres: 130 cm

FGFR3: Un «freno» al crecimiento óseo

Crecimiento óseo típico^{2,6,7,9-11}



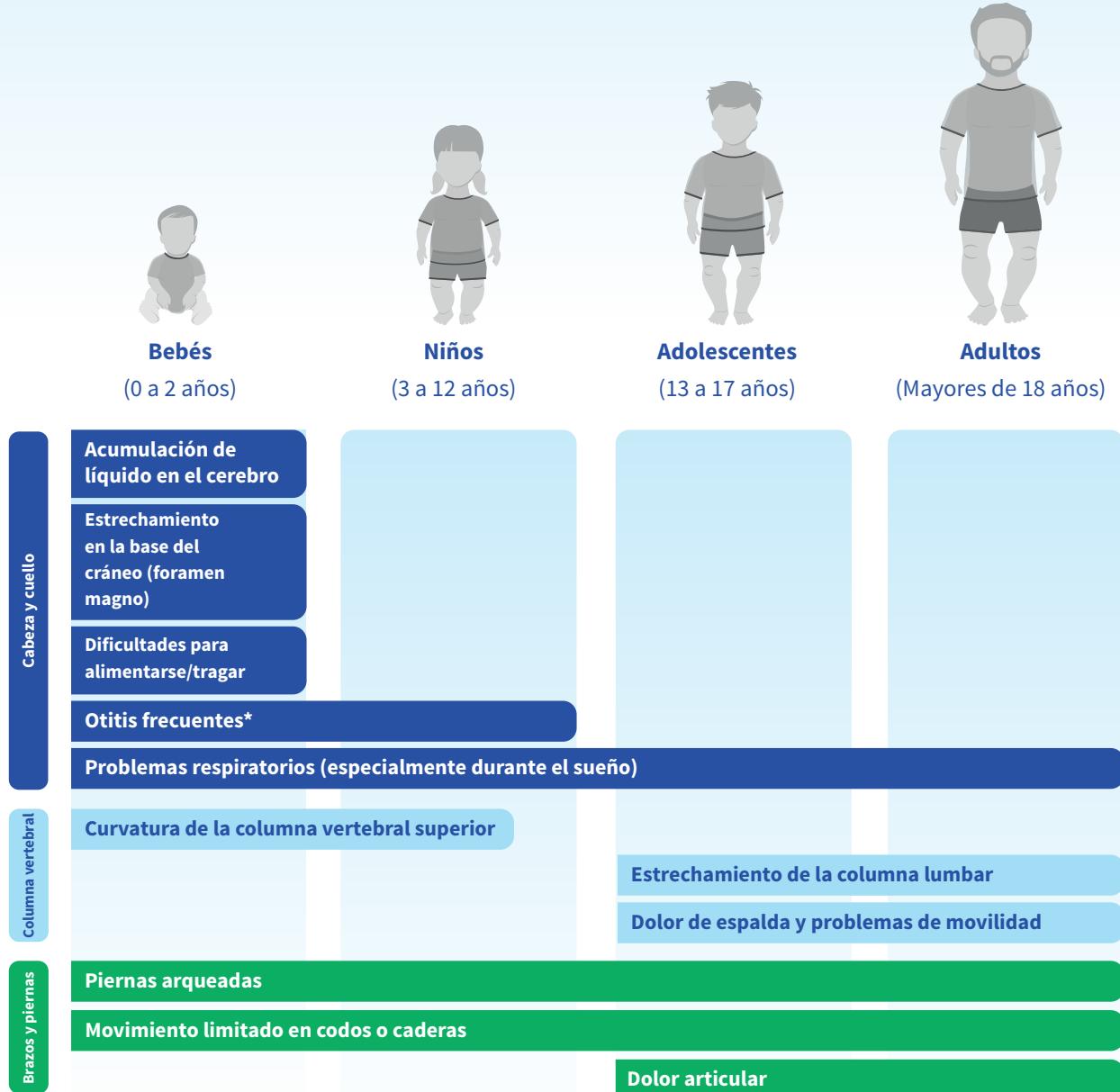
Crecimiento óseo en pacientes con ACH^{2,6,7,9-12}



Esta información es de carácter general y no tiene por objeto la inscripción de participantes.

¿Qué problemas médicos pueden surgir con la ACH? 6,13–23

Además de las diferencias físicas, las personas con ACH pueden tener problemas médicos, algunos desde la infancia y otros en etapas posteriores de la vida.



*Puede causar problemas de audición y/o retraso en el desarrollo del habla.

No todas las personas con ACH tendrán padecerán estos problemas médicos. Cada persona puede experimentarlos de manera diferente e incluso pueden aparecer a diferentes edades. Esta lista no incluye todos los posibles retos médicos que conlleva la ACH.

¿Cómo puede afectar la ACH a la vida cotidiana y al bienestar?

2,6;13,16:24-29

Vida y actividad diarias

- Algunas actividades cotidianas (por ejemplo, alcanzar objetos, conducir, vestirse) pueden resultar más difíciles
- El dolor puede hacer que caminar y las tareas cotidianas resulten más agotadoras
- Los dispositivos o herramientas de apoyo (por ejemplo, taburetes, ayudas para la movilidad) pueden favorecer la independencia



Social y emocional

- Intimidación o miradas fijas de los demás
 - Puede afectar a la confianza en uno mismo
 - Puede provocar ansiedad o estrés



Escuela y trabajo

- Puede ser necesario realizar ajustes o modificaciones para poder participar



Estado físico y movilidad

- El dolor de espalda o de articulaciones puede afectar al movimiento
- Algunas tareas pueden requerir más tiempo o energía

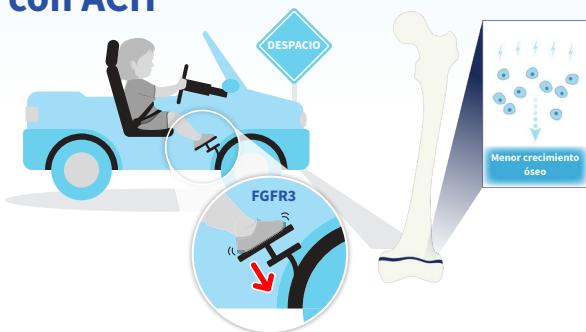


Con los cuidados y el apoyo adecuados, las personas con ACH pueden llevar una vida plena e independiente.²⁴

¿Qué es el infigratinib?

Infigratinib es un medicamento en fase de investigación que se está estudiando en niños con ACH, así como en niños con una forma diferente de displasia esquelética llamada hipocondroplasia.^{1-5,30} Ambas afecciones están causadas por cambios en el gen FGFR3 que ralentizan el crecimiento óseo y provocan una estatura baja desproporcionada y otras características físicas.^{6-8,31} Los investigadores están estudiando si infigratinib puede ayudar a los huesos a crecer reduciendo la actividad del FGFR3, como si se soltara el pie del pedal del freno.^{1-5,30,32,33} Aún no se sabe si infigratinib puede aportar algún beneficio. Se está investigando para entender sus efectos.

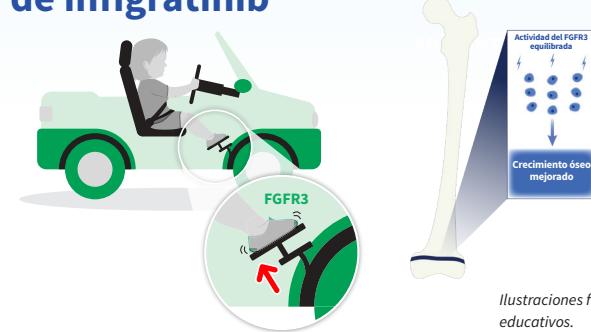
Crecimiento óseo en pacientes con ACH^{2,6,7,9-12}



En las personas con ACH, el freno FGFR3 permanece «activado» (presionado).

Esto limita el crecimiento óseo durante el desarrollo, lo que da lugar a características que se observan comúnmente en las personas con ACH, como brazos y piernas más cortas.

Acción potencial de infigratinib^{32,33}



Ilustraciones ficticias con fines educativos.

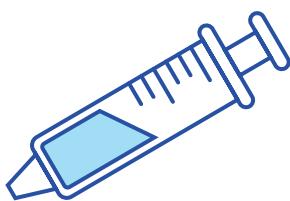
Los investigadores están estudiando si con infigratinib se puede reducir la señal de «freno» del FGFR3, como si se soltara el pie del pedal.

Esto puede permitir que el cartílago de crecimiento funcione de forma más adecuada al reducir la señal de «ralentización». Aún no se sabe si infigratinib aporta algún beneficio. Se está investigando para entender sus efectos.

¿Cómo se toma infigratinib?

Infigratinib es un medicamento en investigación que se toma por vía oral. En los estudios clínicos, la forma y la cantidad de medicamento administrado dependen de la edad y el peso del niño.^{1-5,30}

Para lactantes menores de 6 meses³⁴



Medicamento líquido

Para niños a partir de 6 meses^{1,34}



Una cápsula para espolvorear con gránulos dispersables en su interior

Se puede tragar entera o su contenido puede espolvorearse en alimentos blandos

Se han realizado estudios anteriores con infigratinib en niños con ACH de edades comprendidas entre los 3 y los 18 años

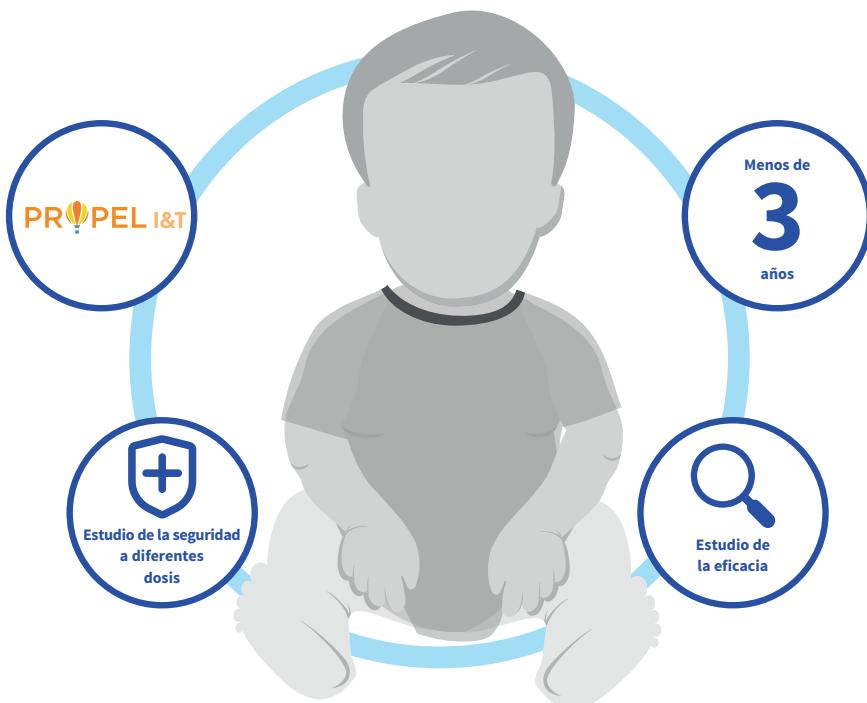
En la investigación clínica pediátrica, los nuevos medicamentos suelen estudiarse primero en grupos más pequeños y en niños mayores. Este proceso ayuda a los investigadores a conocer el perfil de seguridad y los posibles beneficios antes de probarlo en grupos más grandes y, finalmente, en niños más pequeños.

El **programa de desarrollo clínico PROPEL** investigó los efectos de infigratinib en niños con ACH mayores de 3 años pero menores de 18. Ahora, BridgeBio está estudiando grupos de edad más jóvenes con el **estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL**, que investiga los efectos del medicamento en estudio en niños menores de 3 años.¹⁻⁵

¿Qué es el estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL?

El **estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL** es un **estudio global de investigación clínica** patrocinado por BridgeBio.

Se estudia **el perfil de seguridad de infigratinib y cómo funciona** en niños con ACH menores de 3 años.



Esta información es de carácter general y no tiene por objeto la inscripción de participantes.

Infigratinib es un medicamento en investigación que no ha sido aprobado por la EMA, la FDA estadounidense ni ninguna autoridad de registro sanitario. Se desconoce su seguridad y eficacia.

¿Por qué se está estudiando infigratinib en lactantes y niños pequeños?

Los investigadores están estudiando infigratinib en lactantes y niños pequeños con ACH para^{2,6}:

- **Conocer su perfil de seguridad en lactantes y niños pequeños en este grupo de edad**
- **Comprender su posible impacto en las complicaciones médicas asociadas a la ACH**, como la estenosis del foramen magno (EFM)
- **Medir su impacto potencial en el crecimiento y las proporciones corporales**
- **Evaluuar su posible impacto en la calidad de vida**

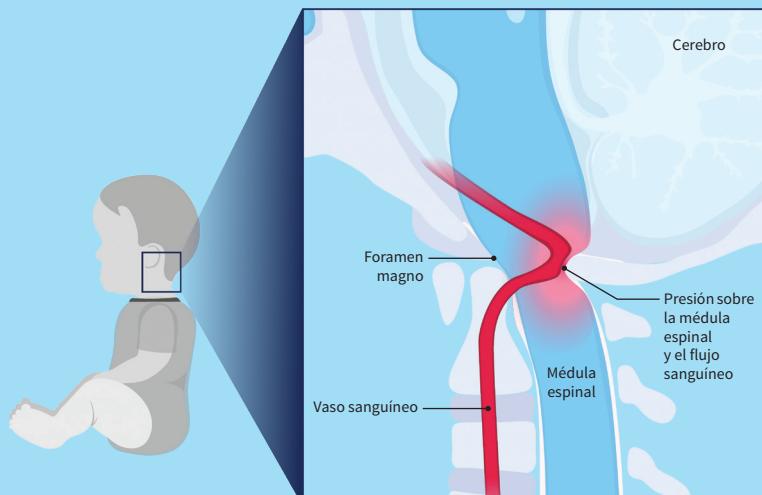
¿Qué es la EFM?

El foramen magno es una abertura en la base del cráneo por la que la médula espinal pasa del cerebro al cuerpo.³⁵

En los niños con ACH, esta abertura suele ser más pequeña de lo normal.

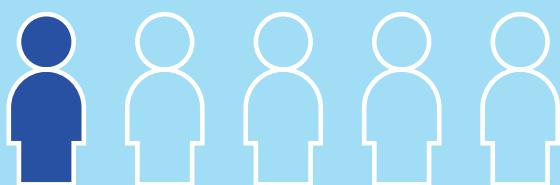
Este estrechamiento se denomina EFM.³⁵

En algunos casos, esta abertura es tan pequeña que puede comprimir la médula espinal y los nervios, lo que puede causar problemas respiratorios o de alimentación, retrasos en el desarrollo o (en casos poco frecuentes) complicaciones potencialmente mortales.^{2,13,35,36}



Alrededor de **1 de cada 5 niños** con ACH **necesita cirugía** para la EFM.

La detección y el tratamiento precoces son fundamentales para prevenir complicaciones graves.¹⁴



¿Cómo está diseñado el estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL? ^{5,34}

El estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL está diseñado como una especie de escalera, en la que cada parte se desarrolla a partir de la anterior.

Los primeros pasos (partes 1 a 3) se centran en encontrar la dosis adecuada de infigratinib para continuar con el estudio. Primero se estudia a los participantes de más edad, luego a los de menos, y se comprueba cada paso antes de seguir adelante.

Los participantes de las partes 1 a 3 menores de 3 años pueden continuar en la parte 4, en la que los investigadores recopilarán información adicional sobre la eficacia y el perfil de seguridad de infigratinib durante un período más prolongado.



¿En qué se diferencian los estudios para lactantes y niños pequeños? ³⁷⁻⁴¹

Los lactantes y los niños pequeños no son simplemente versiones «más pequeñas» de los niños mayores: sus cuerpos se desarrollan y responden a los medicamentos de forma diferente y es preciso vigilarlos de manera adecuada a su edad.

En este estudio, las consideraciones especiales para lactantes y niños pequeños incluyen:

- Investigar **dosis más bajas en función del peso**
- Investigar **formas de dosificación adecuadas para la edad**, como líquidos y minicomprimidos
- Utilizar **evaluaciones adaptadas a la edad**, como medir el crecimiento tumbados y realizar un seguimiento de determinados hitos del desarrollo
- **Utilizar escáneres**, como resonancias magnéticas, para comprender cómo se está desarrollando su cuerpo

Esta información es de carácter general y no tiene por objeto la inscripción de participantes.

Infigratinib es un medicamento en investigación que no ha sido aprobado por la EMA, la FDA estadounidense ni ninguna autoridad de registro sanitario. Se desconoce su seguridad y eficacia.

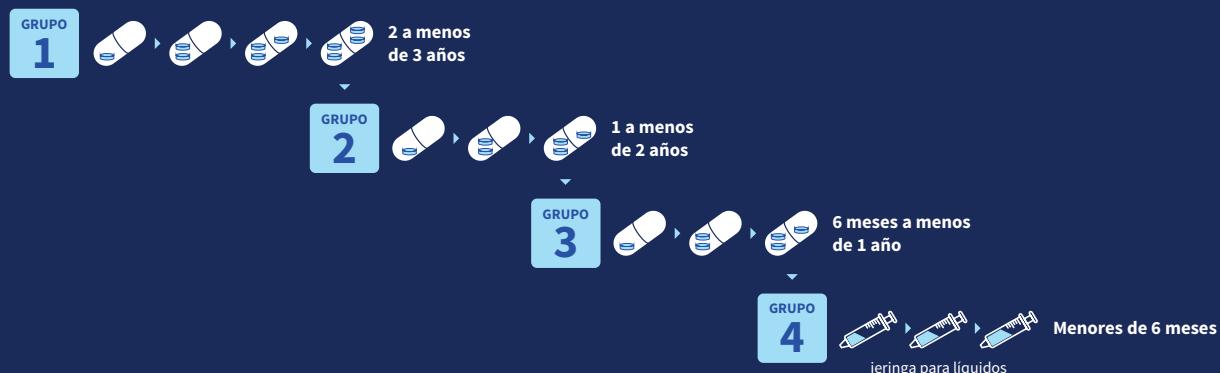
Parte 1: Determinación de la dosis^{5,34}



Objetivo: Identificar la dosis de infigratinib que se utilizará en la parte 2

El estudio comienza con participantes de más edad y avanza paso a paso hacia participantes más jóvenes.

- Habrá 4 grupos en función de la edad (unos 5 participantes por grupo)
- Dentro de cada grupo de edad, se comprueba la seguridad de 3 o 4 niveles de dosis del fármaco del estudio, empezando por la dosis más baja. Cada participante recibe una única dosis*
- Cada grupo más joven comienza solo después de que se haya evaluado la seguridad de todas las dosis en el grupo de más edad



*En algunos casos, un participante puede recibir una segunda dosis única en un nivel superior.

Parte 2: Confirmar la dosis (mismos participantes de la parte 1)^{5,34}



Objetivo: Confirmar la dosis para cada grupo de edad antes de comenzar con la parte 3

Cada grupo de edad participa de uno en uno, de mayor a menor.

- Se le administrará a los participantes infigratinib en la dosis elegida en la parte 1 una vez al día durante 1 mes, mientras se mide la seguridad y la forma en que el medicamento se desplaza por el organismo
- Una vez confirmados esos resultados, comienza el siguiente grupo de edad más joven
- Todos los participantes seguirán tomando el fármaco del estudio una vez al día durante 1 año



Parte 3: Conocer el perfil de seguridad de infigratinib y si funciona en comparación con el placebo, una sustancia similar que no contiene fármaco (todos los participantes son nuevos)^{5,34}



Objetivo: Estudiar el perfil de seguridad de infigratinib y si funciona durante 1 año en comparación con un placebo, utilizando la dosis determinada en la parte 2

Esta parte del estudio incluirá a 56 **nuevos lactantes y niños pequeños con ACH que no participaron en las partes 1 o 2**.

- Los investigadores compararán infigratinib con un placebo (una sustancia similar que no contiene fármaco) para estudiar su perfil de seguridad y su posible impacto en las complicaciones médicas, el crecimiento, las proporciones corporales y la calidad de vida
- Los participantes se unirán en 3 grupos de edad y se les asignará aleatoriamente infigratinib (con la dosis confirmada en la parte 2) o el placebo, durante 1 año
 - La mitad de los participantes recibirá el fármaco del estudio y la otra mitad recibirá el placebo
 - Ni los participantes ni los investigadores sabrán cuál se ha administrado al participante

El uso de un placebo facilita la comprensión de si un medicamento funciona y de su perfil de seguridad.



Los grupos de edad de la parte 3 solo podrán comenzar después de que se revisen los resultados de seguridad de 1 mes de la parte 2.

Parte 4: Prolongación sin enmascaramiento (OLE, por sus siglas en inglés)



(participantes que completaron 1 año en las partes 2 o 3)^{5,34}

Objetivo: Seguir recopilando información sobre la seguridad y la eficacia de infigratinib en los participantes que completaron 1 año en las partes 2 o 3

Los participantes que completaron 1 año en las partes 2 o 3 y tienen menos de 3 años de edad pueden continuar en la parte 4 para que los investigadores puedan seguir estudiando el perfil de seguridad de infigratinib y si funciona durante un período más largo.

- Los participantes reciben el fármaco del estudio hasta que alcanzan los 3 años de edad
- Después de cumplir 3 años de edad, pueden continuar en el estudio PROPEL OLE hasta alcanzar la estatura adulta final
- Todos los participantes de la parte 4 recibirán el fármaco del estudio, aunque hayan recibido placebo en la parte 3

Parte 2 o 3
Menores de 3 años
después de 1 año de
participación

Parte 2 o 3
Mayores de 3 años
después de 1 año de
participación

Parte 4
Lactantes y niños pequeños PROPEL OLE
Todos los participantes reciben
infigratinib hasta los 3 años de edad

PROPEL OLE
Todos los participantes reciben
infigratinib hasta alcanzar la estatura
adulta final

¿Dónde se llevará a cabo el estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL?⁵

El estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL se llevará a cabo en varios países de todo el mundo, entre ellos:

Australia
Canadá
Noruega
Singapur
España
Reino Unido
EE. UU.



¿Dónde puedo obtener más información?

Para más información sobre el **estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL**, incluyendo detalles sobre la población del estudio, visite

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07169279>

Abreviaturas

ACH: acondroplasia; FGFR3: receptor 3 del factor de crecimiento de fibroblastos; EFM: estenosis del foramen magno; OLE: prolongación sin enmascaramiento.

Agradecimientos

BridgeBio quiere dar las gracias a los niños y familias que participaron en estudios anteriores, ya que su participación ha ayudado a fundamentar esta investigación, incluido PROPEL 2.

El estudio para lactantes y niños pequeños PROPEL está patrocinado por BridgeBio, Palo Alto, CA, EE. UU.

BridgeBio también expresa su agradecimiento a los representantes de la defensa del paciente y a los miembros de la comunidad que revisaron este contenido y aportaron valiosos comentarios. Su tiempo y sus contribuciones contaron con el apoyo de BridgeBio.

- Stephanie Birch, Fostering Education and Support for Tykes (FEST), Reino Unido
- Floor de Jongh Bekkali, Norsk Interesseforening for Kortvokste (NiK), Noruega
- Michael Hughes, PharmD, Presidente del Comité de Enlace con la Industria Biotecnológica de Little People of America (LPA), EE.UU
- Susana Noval, Fundación ALPE Acondroplasia, España

Los servicios de traducción de las versiones no inglesas de este documento corrieron a cargo de The Translation People, cuyo trabajo fue financiado por BridgeBio.

Bibliografía

1. Savarirayan R, et al. *N Engl J Med*. 2025;392(9):865–874.
2. Savarirayan R, et al. *Ther Adv Musculoskelet Dis*. 2022;14:1–13.
3. ClinicalTrials.gov. NCT06164951. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06164951>. Consultado el 19 de octubre de 2025.
4. ClinicalTrials.gov. NCT05145010. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05145010>. Consultado el 19 de octubre de 2025.
5. ClinicalTrials.gov. NCT07169279. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07169279>. Consultado el 16 de octubre de 2025.
6. Pauli RM. *Orphanet J Rare Dis*. 2019;14(1):1.
7. Ornitz DM, Itoh N. *Wiley Interdiscip Rev Dev Biol*. 2015;4(3):215–266.
8. Handa A, et al. *Radiographics*. 2023;43(5):e220067.
9. Unger S, et al. *Curr Osteoporos Rep*. 2017;15(2):53–60.
10. Su N, et al. *Bone Res*. 2014;2:14003.
11. Mirtz TA, et al. *J Clin Res*. 2011;3(1):1–7.
12. Legare JM. Achondroplasia. In: Adam MP et al, eds. *GeneReviews*® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1998 [actualizado el 11 de mayo de 2023]. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/20301331/>. Consultado el 23 de octubre de 2025.
13. Hoover-Fong J, et al. *Pediatrics*. 2020;145(6):e20201010.
14. Legare JM, et al. *J Neurosurg Pediatr*. 2021;28(2):229–235.
15. Sforza E, et al. *Genes (Basel)*. 2023;14(1):199.
16. Ireland PJ, et al. *Appl Clin Genet*. 2014;7:117–125.
17. Schilder AG, et al. *Nat Rev Dis Primers*. 2016;2(1):16063.
18. Savarirayan R, et al. *Orphanet J Rare Dis*. 2021;16(1):31.
19. Afsharapman S, et al. *Paediatr Respir Rev*. 2013;14(4):250–255.
20. Constantinides C, et al. *Disabil Rehabil*. 2022;44(21):6166–6178.
21. Geneva S, Atlas SJ. *Best Pract Res Clin Rheumatol*. 2010;24(2):253–265.
22. Nahm NJ, et al. *Orphanet J Rare Dis*. 2023;18(1):139.
23. Rosenfeld RM, et al. *Otolaryngol Head Neck Surg*. 2016;154(1 Suppl):S1–S41.
24. Campbell J, Dorren N. Little People of America, Inc. Una nueva manera de ver la vida: Guía para criar a un niño con enanismo. <https://www.lpaonline.org/assets/documents/LPA%20New%20View%20FINAL.%20122806.pdf>. Consultado el 23 de octubre de 2025.
25. Jacinto M, et al. *Sustainability*. 2022;14(8):4487.
26. Fagereng E, et al. *Orphanet J Rare Dis*. 2025;20(1):116.
27. Saint-Laurent C, et al. *Orphanet J Rare Dis*. 2019;14(1):253.
28. Pfeiffer KM, et al. *Am J Med Genet A*. 2022;188(2):454–462.
29. Shediac R, et al. *Mol Genet Genomic Med*. 2022;10(4):e1891.
30. ClinicalTrials.gov. NCT06873035. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06873035>. Consultado el 19 de octubre de 2025.
31. Bober MB et al. *Hypochondroplasia*. In: Adam MP et al, eds. *GeneReviews*® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1999 [actualizado el 25 de septiembre de 2025]. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/20301650/>. Consultado el 19 de octubre de 2025.
32. Komla-Ebri D, et al. *J Clin Invest*. 2016;126(5):1871–1884.
33. Demuync B, et al. *J Bone Miner Res*. 2024;39(6):765–774.
34. BridgeBio. Datos archivados.
35. White KK, et al. *Am J Med Genet A*. 2016;170A(1):42–51.
36. Khalid K, Saifuddin A. *Br J Radiol*. 2021;94(1123):20210223.
37. Kearns GL, et al. *N Engl J Med*. 2003;349(12):1157–1167.
38. Warrier V, et al. Height Assessment. In: *StatPearls* [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2023 [actualizado en enero de 2025]. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31855368/>. Consultado el 23 de octubre de 2025.
39. Copeland A, et al. *Front Neurosci*. 2021;15:666020.
40. Howie SR. *Bull World Health Organ*. 2011;89(1):46–53.
41. Georgia Clinical & Translational Science Alliance. Pediatric Clinical Research Unit. <https://georgiactsa.org/research/crc/pediatrics.html>. Consultado el 19 de octubre de 2025.

Esta información es de carácter general y no tiene por objeto la inscripción de participantes.