

Actualización del programa de ensayos clínicos de BioMarin para la **Hipocondroplasia**

BioMarin se complace en informar a la comunidad de **hipocondroplasia** sobre las novedades de nuestro programa de desarrollo clínico en curso.

Nuestro objetivo es comprender la evolución clínica y el crecimiento de los niños con **hipocondroplasia**, a través de nuestro



Estudio 111-902

¿Qué es el estudio 111-902?

El estudio 111-902 es un estudio observacional para evaluar la evolución clínica y el crecimiento en niños con hipocondroplasia.

La participación en el estudio implica la recogida de mediciones de crecimiento y otra información. En este estudio no se utilizan tratamientos ni medicamentos en investigación.

Muchas de las pruebas y procedimientos necesarios para este estudio también se realizan como parte de la atención habitual del menor, como las mediciones y la determinación de las constantes vitales y las exploraciones físicas. Para este estudio, se tomarán más mediciones de lo habitual para evaluar los aspectos científicos relevantes de la hipocondroplasia.

“111-902” hace referencia al número de identificación del estudio proporcionado por BioMarin.

Duración del estudio

La participación en el estudio 111-902 dura un mínimo de 6 meses e incluye:

- **Selección:** Hasta 35 días
- **Visitas del estudio:** Cada 6 meses hasta que el niño alcance la edad adulta final (alrededor de los 16 años para las niñas o alrededor de los 18 años para los niños)



Para unirse al estudio, el niño debe:

- Tener 15 años de edad o menos.
- Tener un diagnóstico de hipocondroplasia.
- Ser capaz de moverse y estar de pie sin ayuda (no se aplica a niños menores de 5 años o de un poco más de 90 cm de altura).
- No haber recibido productos en investigación ni productos sanitarios en los 6 meses anteriores a la visita de selección.



¿Por qué participar?

- El estudio 111-902 nos ayudará a saber más sobre cómo crecen los niños con hipocondroplasia y a contribuir de forma significativa a la base de conocimientos, lo que podría ayudar a otras personas en el futuro.
- Además, se pedirá a un subgrupo de niños aptos del estudio 111-902 que participen en un ensayo clínico de un nuevo tratamiento para la hipocondroplasia. Para participar en el ensayo clínico, todos los niños deben inscribirse primero en el estudio 111-902 durante al menos 6 meses para evaluar su crecimiento actual.



Acerca de los estudios clínicos

- El estudio 111-902 es un estudio clínico observacional. En un estudio clínico observacional, los participantes aceptan que se recopile información, en este caso información sobre el crecimiento. En el estudio 111-902, los médicos del estudio analizarán los datos para obtener más información sobre la hipocondroplasia, que posteriormente puede ayudar a otras personas en el futuro.
- Los estudios clínicos siguen normas específicas para proteger los derechos, la seguridad, el bienestar y la confidencialidad de los participantes del estudio.
- La participación en el estudio 111-902 es completamente voluntaria. Los niños que participen en el estudio y sus padres/tutores pueden finalizar la participación del niño en cualquier momento y por cualquier motivo sin que ello afecte a su atención médica habitual.



¿Cómo puedo obtener más información?

- Puede ponerse en contacto con el servicio de información médica de BioMarin a través del correo electrónico medinfo@bmm.com
- Visite ClinicalTrials.gov y busque el identificador: NCT06212947 o 111-902

Acerca de BioMarin

Desde 1997, BioMarin se ha dedicado a transformar vidas a través del descubrimiento genético mediante un enfoque orientado a la ciencia y a las personas. BioMarin desarrolla tratamientos dirigidos que abordan la causa fundamental de las afecciones genéticas que pueden tratar, ayudando a mejorar las vidas de aquellos que padecen afecciones genéticas raras, todo ello mediante una estrecha colaboración con pacientes y defensores de pacientes.