



Preguntas frecuentes: QED Therapeutics y el estudio PROPEL

¿Quién es QED Therapeutics?

QED Therapeutics, Inc. o “QED”, es una empresa de biotecnología con sede en San Francisco, California. QED es una filial de BridgeBio Pharma, Inc. (“BridgeBio”), que es un grupo de descubridores especializados en medicina, desarrolladores e innovadores que trabajan para crear medicamentos que cambian la vida a personas con enfermedades genéticas raras. QED se centra específicamente en llevar medicamentos a personas que viven con afecciones causadas por los cambios en los genes del receptor del factor de crecimiento de los fibroblastos (FGFR).

¿Cuál es el interés de QED en el desarrollo de un medicamento para niños con acondroplasia?

El objetivo de QED es llevar medicamentos a las personas que viven con afecciones provocadas por los cambios en los genes FGFR, como la acondroplasia. QED está comprometida con la comunidad de la acondroplasia y se centra en el desarrollo de infigratinib como medicamento que puede mejorar potencialmente la salud general y la calidad de vida de los niños con acondroplasia. QED espera que un día el infigratinib pueda ser una opción de tratamiento a valorar por los niños y sus familias con sus profesionales de la salud.

¿Cuáles son los receptores del factor de crecimiento fibroblástico (FGFR)?

Existen cuatro receptores conocidos del factor de crecimiento fibroblástico o FGFR: FGFR1, FGFR2, FGFR3 y FGFR4. Los FGFR son partes importantes de una célula que ayudan a llevar a cabo muchas funciones importantes del cuerpo, incluida la regulación o *control* de ciertas partes del crecimiento celular y de la división.

¿Cuál es el papel de los FGFR en la acondroplasia?

FGFR3 desempeña un papel especial en la acondroplasia. Cuando un cambio, llamado mutación, se produce en una parte determinada del gen que dice al organismo cómo fabricar FGFR3, puede provocar la acondroplasia. Esta mutación en particular se conoce como “G380R” y da como resultado cambios que mejoran las funciones normales de FGFR3, que afectan al

desarrollo óseo y, a veces, a otros resultados médicos asociados a la acondroplasia.

¿Qué es el estudio PROPEL?

PROPEL es un estudio de historia natural en curso. "Historia natural" es un término utilizado para describir un estudio que observa cambios en la afección de una persona a lo largo del tiempo con atención médica rutinaria. PROPEL es un estudio de investigación que busca comprender mejor los patrones de crecimiento y las posibles complicaciones médicas en los niños con acondroplasia. No se administrará ningún medicamento a los niños que participen en este estudio.

El estudio PROPEL se inició en julio de 2019 e incluirá aproximadamente a 200 niños de todo el mundo durante varios años. Puede encontrar más información en www.clinicaltrials.gov utilizando el identificador NCT04035811. Los niños que participen en PROPEL podrán participar en futuros ensayos clínicos de QED que estudien un nuevo medicamento en investigación para niños con acondroplasia llamado infigratinib (anteriormente conocido como BGJ398).

¿Cómo puedo incluir a mi hijo en el estudio PROPEL?

Si está interesado en incluir a su hijo en el estudio PROPEL, hable con el médico de su hijo. Puede encontrar información adicional, incluida una lista de médicos participantes, visitando www.clinicaltrials.gov y buscando con el identificador NCT04035811.

¿Está realizando QED un estudio para niños con acondroplasia en mi región?

El estudio PROPEL se llevará a cabo en todo el mundo, pero no necesariamente en todos los países. Para obtener la información más actualizada y una lista de médicos participantes, visite www.clinicaltrials.gov y busque con el identificador NCT04035811.

El médico de mi hijo no está incluido en la lista de médicos participantes en PROPEL. ¿Aun así, puede mi hijo participar?

Es posible que su hijo pueda participar en PROPEL incluso si el médico actual de su hijo no está participando. Para obtener más información, envíe un correo electrónico a PROPEL@QEDTX.com y alguien de QED le ayudará a explorar los próximos pasos.

¿Con qué frecuencia debo llevar a mi hijo al médico para las evaluaciones del estudio PROPEL?

Los niños que participen en PROPEL se someterán a visitas regulares al médico para comprobar su crecimiento y su salud general. Se programarán algunas visitas en los primeros 6 meses de participación, con revisiones regulares cada 6 meses a partir de entonces.

¿Qué sucederá en las visitas del estudio durante PROPEL?

Las visitas del estudio durante PROPEL proporcionarán la información que esperamos adquirir sobre el crecimiento y el desarrollo de niños con acondroplasia, incluido lo rápido que crece un niño y más sobre la salud y la experiencia general de un joven con acondroplasia. Cada visita incluirá una exploración física, mediciones de la altura de varias partes del cuerpo, una muestra de sangre y cuestionarios para comprender la calidad de vida de su hijo y de usted.

¿Cuesta algo que mi hijo participe en el estudio PROPEL?

La participación en el estudio PROPEL se realiza sin coste alguno para el niño o la familia y es completamente voluntaria.

¿Cuánto tiempo participará mi hijo en el estudio PROPEL?

La participación en el estudio es anónima y voluntaria. Usted y su hijo pueden retirarse de participar en el estudio en cualquier momento. De lo contrario, los participantes permanecerán en el estudio durante un mínimo de seis meses y un máximo de dos años. Si su hijo ha participado en el estudio PROPEL durante al menos seis meses, puede ser apto para participar en un ensayo clínico posterior que utilice el medicamento en investigación infigratinib.

¿Cuándo comenzará QED un ensayo con el medicamento en investigación infigratinib?

Está previsto que en 2020 comience el primer ensayo clínico que estudia el medicamento en investigación infigratinib en niños con acondroplasia. Si su hijo ha participado en el estudio PROPEL durante al menos seis meses, puede ser apto para participar en un ensayo clínico que utiliza el medicamento en investigación infigratinib. Pídale a su médico que obtenga más información y explore si su hijo puede ser apto para participar en un ensayo clínico con el medicamento en investigación infigratinib.

Nota: no se han establecido la seguridad y eficacia de infigratinib. No existe garantía de que infigratinib vaya a recibir la aprobación de la autoridad

sanitaria o se comercialice en cualquier país para los usos que se están investigando.

¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico permite a los investigadores estudiar una afección determinada y, a menudo, estudiar el impacto de los medicamentos en investigación para esa afección. Algunos ensayos clínicos no estudian activamente un nuevo medicamento, sino que ayudan a los investigadores a comprender mejor una afección antes de realizar un ensayo con un posible medicamento. Estos tipos de ensayos clínicos se denominan estudios de historia natural e implican la observación del curso natural de una afección con atención médica estándar en lugar de estudiar el efecto de un nuevo posible medicamento. El objetivo de un programa de ensayo clínico, que consta de varios ensayos clínicos, es evaluar si los medicamentos en investigación son seguros y pueden proporcionar opciones más allá de los tratamientos disponibles en la actualidad.

Participar en cualquier ensayo clínico es anónimo y voluntario y puede proporcionar un nuevo medicamento en investigación mientras se sigue estudiando.

¿Qué es infigratinib?

Nota: no se han establecido la seguridad y eficacia de infigratinib. No existe garantía de que infigratinib vaya a recibir la aprobación de la autoridad sanitaria o se comercialice en cualquier país para los usos que se están investigando.

Infigratinib es un medicamento en investigación que se toma por vía oral y reduce la actividad de FGFR1, FGFR2 y FGFR3. Debido a que los aumentos de FGFR3 conducen a los cambios en el desarrollo óseo asociados a la acondroplasia, la ralentización de la actividad del FGFR3 puede tener beneficios para los niños con acondroplasia.

Se ha demostrado el posible beneficio de infigratinib en la acondroplasia en estudios con animales. Los resultados de estos estudios se publicaron en 2016 en el Journal of Clinical Investigation, disponible en www.jci.org/articles/view/83926/pdf.

¿Es infigratinib un medicamento seguro para que los niños lo tomen?

El objetivo del primer ensayo clínico con infigratinib en niños con acondroplasia es encontrar una dosis de infigratinib que sea, en primer lugar y sobre todo, segura en niños. Ese ensayo, llamado PROPEL2, comenzará estudiando una dosis muy baja de infigratinib. PROPEL2 comenzará en 2020 y los niños que hayan participado en PROPEL durante al menos seis meses pueden ser aptos para este ensayo también.

¿Cómo funciona infigratinib?

Infigratinib funciona reduciendo la actividad de FGFR3. En niños con acondroplasia, los FGFR3 son mucho más activos que en otros niños, lo que limita el crecimiento y el desarrollo óseo típicos. Cuando el funcionamiento de FGFR3 está limitado por el infigratinib, el crecimiento óseo y otros parámetros médicos pueden mejorar.

¿Qué beneficios se esperan para los niños que toman infigratinib?

El infigratinib limita la actividad de FGFR3 y puede mejorar el crecimiento óseo y otros resultados médicos en niños con acondroplasia, según los datos generados a partir de estudios con animales realizados hasta la fecha. Los próximos ensayos clínicos que utilizan el medicamento en investigación infigratinib nos ayudarán a conocer mejor los posibles beneficios de infigratinib en niños con acondroplasia.

¿Cuánto tiempo lleva estudiando QED infigratinib?

QED ha estado trabajando para desarrollar infigratinib desde 2018. Infigratinib se ha estudiado en más de 650 pacientes adultos y se han realizado varios estudios con animales para comenzar a comprender su posible efectividad en la acondroplasia y otras displasias esqueléticas motivadas por FGFR3.

Si tiene más preguntas y desea ponerse en contacto con el equipo de QED sobre el estudio PROPEL, envíe un correo electrónico a PROPEL@QEDTX.com,