

Actualización para asociaciones de acondroplasia

Actualización del ensayo clínico



111-209: Estudio en fase II para niños con riesgo de necesitar cirugía de descompresión cervicomedular

111-209 está abierto para la inscripción. El estudio se ha diseñado para estudiar la seguridad y efectividad de la vosoritida en niños con riesgo de necesitar cirugía de descompresión cervicomedular.

- 20 niños, de 0 a 12 meses de edad
- Durante 2 años, la mitad de los participantes recibirán el tratamiento estándar y la otra mitad recibirá el tratamiento estándar más el medicamento en investigación
- Transcurridos 2 años, todos los participantes recibirán el medicamento en investigación en un estudio de extensión que durará 3 años más
- El estudio es abierto, lo que significa que los participantes y los médicos saben si el participante está recibiendo el medicamento en investigación
- Centros en Australia y el Reino Unido (los participantes deben vivir cerca del lugar del ensayo)



Para obtener más información sobre el estudio 111-209, visite:

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



Publicaciones y presentaciones

111-301: Estudio clínico en fase III

Los resultados más recientes del estudio clínico en fase III BMN 111-301 han sido recientemente publicados.

- *The Lancet* ha publicado un artículo revisado por científicos expertos: “Once-Daily, Subcutaneous Vosoritide Therapy in Children with Achondroplasia” (Tratamiento una vez al día con vosoritida subcutánea en niños con acondroplasia). Entre los autores se encuentran el Dr. Ravi Savarirayan, del Murdoch Children’s Research Institute, y la Dra. Melita Irving, del Evelina Children’s Hospital.
- Las presentaciones se realizaron en el congreso virtual de 2020 de la Sociedad Americana de Investigación Ósea y Mineral (American Society of Bone and Mineral Research, ASBMR) y el simposio de la Sociedad de Endocrinología Pediátrica (Pediatric Endocrine Society, PES).



Para obtener más información sobre el estudio 111-301, visite:

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

Actualización para asociaciones de acondroplasia



Para obtener información adicional sobre los estudios clínicos de BioMarin:

- Visite www.clinicaltrials.gov y escriba el código del estudio “BMN 111”
- Para consultas o comentarios de organizaciones de defensa del paciente, escriba a patientadvocacy@bmrn.com
- Puede ponerse en contacto con el servicio de información médica de BioMarin a través del correo electrónico medinfoeu@bmrn.com