

Actualización para asociaciones de acondroplasia

BioMarin es una empresa farmacéutica mundial que cuenta con más de 20 años de experiencia en la elaboración de medicamentos para enfermedades genéticas raras.

BioMarin ha anunciado la presentación de una solicitud de autorización de comercialización (Marketing Authorization Application, MAA) a la Agencia Europea de Medicamentos (European Medicines Agency, EMA) y una solicitud de registro (New Drug Application, NDA) a la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (US Food and Drug Administration, FDA) para vosoritida, un medicamento en investigación para la acondroplasia. Un medicamento en investigación es un fármaco que se está estudiando para ver si es seguro y eficaz para tratar una afección en particular. El uso de la vosoritida no está autorizado y tampoco se ha establecido que sea segura o eficaz. BioMarin ha presentado datos que serán revisados ahora por los organismos reguladores, los cuales decidirán si aprobar la comercialización del fármaco.

Se ha incluido a más de 500 niños con acondroplasia en estudios clínicos de BioMarin en 8 países. Estos niños y sus familias han sido cruciales para las investigaciones en curso sobre la acondroplasia y para la seguridad y la eficacia de vosoritida. Nuestro más profundo agradecimiento a todas las personas que participan en nuestros estudios clínicos.



Estudio en curso, inscripción abierta

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

111-209 está en proceso de inscripción y los primeros participantes han comenzado el tratamiento. El estudio se ha diseñado para estudiar la seguridad y efectividad de la vosoritida en bebés y niños en riesgo de necesitar cirugía de descompresión cervicomedular.

Para obtener más información sobre el estudio 111-209, visite:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04554940>





Estudios en curso, inscripción finalizada

111-202 y 111-205: Estudios de búsqueda de dosis y de extensión

BioMarin ha finalizado el estudio de evaluación de dosis 111-202 y está realizando actualmente un seguimiento de los participantes mediante el estudio de extensión a largo plazo denominado 111-205.

Para obtener más información sobre el estudio 111-202, visite:

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



Para obtener más información sobre el estudio 111-205, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02724228>

111-206 y 111-208: Estudios de seguridad y eficacia en fase II

La inscripción para el estudio 111-206 ya ha finalizado. Tras un año de participación en este estudio, se realizará un seguimiento de los participantes mediante el estudio de extensión a largo plazo denominado 111-208. Estos estudios clínicos están diseñados para estudiar la seguridad y el efecto de la vosoritida sobre el crecimiento de los participantes, la necesidad de intervenciones quirúrgicas, la salud ósea y la calidad de vida.



Para obtener más información sobre el estudio 111-206, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03583697>

Para obtener más información sobre el estudio 111-208, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03989947>

111-301 y 111-302: Estudios de seguridad y eficacia en fase III

La inscripción para el estudio 111-301 ya ha finalizado y BioMarin ha anunciado los resultados del criterio de valoración principal. Actualmente se está realizando un seguimiento de los participantes mediante el estudio de extensión a largo plazo denominado 111-302. Para más información, vea la sección "Publicaciones y presentaciones" en la página 3.



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

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

Para obtener más información sobre el estudio 111-302, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

111-501 y 111-502: Estudios observacionales sobre el impacto a lo largo de la vida

La inscripción para los estudios 111-501 (LIAISE) y 111-502 (LISA) ya ha finalizado. En estos estudios no se utiliza un medicamento en investigación y su objetivo es comprender mejor cómo es vivir con acondroplasia mediante la búsqueda de tendencias de salud desde la infancia hasta la edad adulta. Para más información, vea la sección "Publicaciones y presentaciones" en la página 3.



Para obtener más información sobre el estudio 111-501 (LIAISE), visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Para obtener más información sobre el estudio 111-502 (LISA), visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03872531>

111-901: Un estudio observacional

La inscripción para el estudio 111-901 ya ha finalizado. En este estudio no se utilizan medicamentos en investigación. Los datos de este estudio se compararán con los de los estudios de BioMarin en los que se trate a participantes con vosoritida para conocer mejor los efectos del medicamento en investigación.



Para obtener más información sobre el estudio 111-901, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01603095>

Publicaciones y presentaciones



Endocrine Society (ENDO)

Los resultados combinados de BMN 111-301 y 111-302 se presentaron en la reunión anual del 2021 de la Sociedad de Endocrinología (Endocrine Society, ENDO) en marzo.



Para obtener más información sobre el estudio 111-302, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

Colegio Estadounidense de Genética Médica (American College of Medical Genetics, ACMG)

Se llevaron a cabo varias presentaciones de los datos del programa de ensayo clínico de BioMarin en la reunión anual del Colegio Estadounidense de Genética Médica en abril. Entre ellos los resultados de 5 años de datos de los estudios 111-202 y 111-205, una presentación en cartel de los datos de la encuesta mundial a cuidadores de pacientes con acondroplasia, un cartel con los resultados provisionales de la encuesta de acceso al mercado, y una presentación oral y en cartel de los resultados de BMN 111-501 (LIAISE), el estudio observacional sobre el impacto a lo largo de la vida.



Para obtener más información sobre el estudio 111-501 (LIAISE), visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Para obtener más información sobre el estudio 111-205, visite:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02724228>



Para obtener más información:

- Para obtener información sobre los estudios clínicos de BioMarin, visite www.clinicaltrials.gov y escriba el código del estudio "BMN 111".
- Para obtener información y recursos sobre la vida con acondroplasia, visite www.achondroplasia.com
- 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