

Informações atualizadas para Associações de Acondroplasia

A BioMarin é uma empresa farmacêutica global com mais de 20 anos de experiência no desenvolvimento de medicamentos para doenças genéticas raras.

A BioMarin anunciou o envio de um Pedido de Autorização de Introdução no Mercado (AIM) à Agência Europeia de Medicamentos (European Medicines Agency, EMA) um pedido de novo medicamento à Administração de Alimentos e Medicamentos dos EUA (US Food and Drug Administration, FDA) para o vosoritida, um medicamento experimental para a acondroplasia. Um medicamento experimental é um medicamento que está a ser estudado para verificar se é seguro e eficaz para tratar uma condição específica. O vosoritida não foi aprovado para uso ou considerado seguro ou eficaz. A BioMarin apresentou dados que agora serão analisados pelos reguladores, que decidirão se aprovam a comercialização do medicamento.

Inscreveram-se nos estudos clínicos da BioMarin mais de 500 crianças com acondroplasia de 8 países. Estas crianças e as suas famílias têm sido cruciais para a investigação em curso sobre a acondroplasia e a segurança e eficácia do vosoritida. Estamos extremamente gratos a todos os que participam nos nossos estudos clínicos.



Estudo em Curso, Inclusão Aberta

111-209: Estudo de fase 2 para crianças em risco de necessitarem de cirurgia de descompressão cervicomedular

A inclusão no 111-209 encontra-se aberta, e os primeiros participantes já começaram o tratamento.

O estudo foi concebido para estudar a segurança e a eficácia do vosoritida em crianças que estão em risco de necessitar de cirurgia de descompressão cervicomedular.



Para mais informações sobre 111-209, consulte:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04554940>



Estudos em Curso, Inclusão Concluída

111-202 e 111-205: Estudos de procura de dose e estudos de extensão

A BioMarin concluiu o estudo de avaliação de dose 111-202 e atualmente acompanha os participantes num estudo de extensão de longo prazo chamado 111-205.



Para mais informações sobre o 111-202, consulte:

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

Para mais informações sobre o 111-205, consulte:

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

111-206 e 111-208: Estudos de Fase 2 para avaliar a eficácia e a segurança

A inclusão para o 111-206 está agora concluída. Após concluir um ano neste estudo, os participantes serão seguidos no estudo de extensão a longo prazo intitulado 111-208. Estes estudos clínicos são concebidos para estudar a segurança do vosoritida e o efeito na altura e o crescimento dos participantes, necessidade de cirurgias, saúde óssea e qualidade de vida.



Para mais informações sobre o 111-206, consulte:

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

Para mais informações sobre o 111-208, consulte:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03989847>

111-301 e 111-302: Estudos de Fase 3 para avaliar a eficácia e a segurança

A inclusão para o estudo 111-301 agora está concluída e a BioMarin anunciou os resultados do parâmetro primário de avaliação. Atualmente, os participantes estão a ser acompanhados no estudo de extensão de longo prazo chamado 111-302. Consulte a secção "Publicações e apresentações" na página 3 para mais detalhes.



Para mais informações sobre 111-301, consulte:

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

Para mais informações sobre 111-302, consulte:

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

111-501 e 111-502: Estudos observacionais sobre impacto na vida

A inclusão para o 111-501 (LIAISE) e para o 111-502 (LISA) está agora completa. Estes estudos não envolvem um medicamento experimental e têm como objetivo compreender melhor como é viver com acondroplasia, encontrando tendências de saúde desde a infância até à idade adulta. Consulte a secção "Publicações e apresentações" na página 3 para mais detalhes.



Para mais informações sobre 111-501 (LIAISE), consulte:

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

Para mais informações sobre 111-502 (LISA), consulte:

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

111-901: Estudo observacional

A inclusão para o 111-901 está agora concluída. O estudo não envolve um medicamento experimental. Os dados deste estudo serão comparados aos dados dos estudos da BioMarin que tratam os participantes com vosoritida para melhor compreender os efeitos do medicamento experimental.



Para mais informações sobre o 111-901, consulte:

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

Publicações e apresentações



Endocrine Society (ENDO)

Os resultados combinados do BMN 111-301 e 111-302 foram apresentados na reunião anual de 2021 da Endocrine Society (ENDO) em março.



Para mais informações sobre 111-302, consulte:

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

American College of Medical Genetics (ACMG)

Várias apresentações de dados do programa de investigação clínica da BioMarin ocorreram na reunião anual do American College of Medical Genetics (ACMG) em abril. Estas incluíram resultados de dados de 5 anos dos estudos 111-202 e 111-205; uma apresentação de poster dos dados do inquérito global de cuidadores de Acondroplasia; um poster dos resultados intercalares do inquérito de acesso ao mercado de Resultados Significativos; e uma apresentação oral e poster dos resultados do BMN 111-501 (LIAISE), o estudo observacional sobre o impacto ao longo da vida.



Para mais informações sobre 111-501 (LIAISE), consulte:

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

Para mais informações sobre o 111-205, consulte:

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



Para mais informações:

- Para informações sobre os estudos clínicos da BioMarin, consulte www.clinicaltrials.gov e escreva o código de estudo "BMN 111"
- Para informação e recursos sobre como viver com acondroplasia, consulte www.achondroplasia.com
- Para perguntas ou comentários de organizações de defesa, contacte patientadvocacy@bmrn.com
- Entre em contacto com a BioMarin Medical Information em: medinfoeu@bmrn.com