

Обновленная информация для ассоциаций пациентов с ахондроплазией

«БиоМарин» – это международная фармацевтическая компания, имеющая более 20 лет опыта в разработке лекарственных препаратов для лечения редких генетических заболеваний.

Компания «БиоМарин» объявила о подаче заявки в Европейское агентство по лекарственным средствам (European Medicines Agency, EMA) на получение регистрационного удостоверения (Marketing Authorisation Application, MAA) и в Управление по контролю качества пищевых продуктов и лекарственных средств США (US Food and Drug Administration, FDA) на регистрацию нового лекарственного препарата (New Drug Application, NDA) в отношении исследуемого препарата восоритида для лечения ахондроплазии. Исследуемый препарат – это препарат, который изучается с целью оценки его безопасности и эффективности для лечения того или иного заболевания. Восоритид не был одобрен для применения или признан безопасным или эффективным. Компания «БиоМарин» представила данные, которые теперь будут рассмотрены регулирующими органами для принятия решения о том, следует ли одобрить вывод нового препарата на рынок.

Более 500 детей с ахондроплазией приняли участие в клинических исследованиях компании «БиоМарин» в 8 странах. Эти дети и их семьи сыграли ключевую роль в продолжающемся исследовании, посвященном ахондроплазии, а также оценке безопасности и эффективности восоритида. Мы выражаем огромную благодарность всем, кто участвует в наших клинических исследованиях.



Продолжающееся исследование, открыт набор участников в исследование

111-209: Исследование фазы 2 для детей, находящихся в группе риска необходимости хирургической декомпрессии при цервикомедуллярном синдроме

Исследование 111-209 открыто для набора, и первые участники начали лечение.

Цель этого исследования состоит в изучении безопасности и эффективности восоритида у младенцев и детей более старшего возраста, которые находятся в группе риска необходимости хирургической декомпрессии при цервикомедуллярном синдроме.

Дополнительная информация об исследовании 111-209 размещена на веб-сайте:

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





Продолжающиеся исследования, набор пациентов завершен

Исследования 111-202 и 111-205: Исследования по определению дозы и расширенные исследования

Компания «БиоМарин» завершила исследование по подбору дозы 111-202 и в настоящее время осуществляет последующее наблюдение за участниками в долгосрочном расширенном исследовании под названием 111-205.



Дополнительная информация об исследовании 111-202 размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02055157>

Дополнительная информация об исследовании 111-205 размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02724228>

Исследования 111-206 и 111-208: Исследования фазы 2 для оценки эффективности и безопасности

Набор в исследование 111-206 завершен. По прошествии одного года в этом исследовании участники будут участвовать в долгосрочном расширенном исследовании 111-208. Эти клинические исследования предназначены для изучения безопасности восоритида и его влияния на рост участников, потребность в хирургическом вмешательстве, здоровье костей и качество жизни.



Дополнительная информация об исследовании 111-206 размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03583697>

Исследования 111-301 и 111-302: Исследования фазы 3 для оценки эффективности и безопасности

Набор в исследование 111-301 завершен. Компания «БиоМарин» объявила результаты первичной конечной точки. В настоящее время участники находятся под наблюдением в долгосрочном расширенном исследовании под названием 111-302. Обратитесь к разделу «Публикации и презентации» на странице 3 для получения более подробной информации.



Дополнительная информация об исследовании 111-301 размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03197766>

Дополнительная информация об исследовании 111-302 размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03424018>

Исследования 111-501 и 111-502: Наблюдательные исследования влияния на протяжении всей жизни

Набор в исследования 111-501 (LIAISE) и 111-502 (LISA) завершен. Эти исследования не связаны с исследуемым препаратом. Их цель состоит в том, чтобы лучше понять жизнь с ахондроплазией путем поиска тенденций в состоянии здоровья с детского до взрослого возраста. Обратитесь к разделу «Публикации и презентации» на странице 3 для получения более подробной информации.



Дополнительная информация об исследовании 111-501 (LIAISE) размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03449368>

Дополнительная информация об исследовании 111-502 (LISA) размещена на веб-сайте: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03872531>

111-901 Наблюдательное исследование

Набор в исследование 111-901 завершен. В исследовании не будет изучаться исследуемый препарат. Данные, полученные в ходе этого исследования, будут сравниваться с данными, полученными в ходе исследований, проводимых компанией «БиоМарин», в которых участники проходят лечение препаратом восоритид, с целью лучшего понимания эффектов исследуемого препарата.



Дополнительная информация об исследовании 111-901 размещена на веб-сайте:

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



Публикации и презентации

Общество эндокринологов (Endocrine Society, ENDO)

Обобщенные результаты исследований BMN 111-301 и 111-302 были представлены на ежегодном собрании Общества эндокринологов (ENDO) в марте 2021 года.



Дополнительная информация об исследовании 111-302 размещена на веб-сайте:

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

Американский колледж медицинской генетики (American College of Medical Genetics, ACMG)

В апреле на ежегодном собрании Американского колледжа медицинской генетики (ACMG) состоялось несколько презентаций данных, полученных в рамках программы клинических исследований компании «БиоМарин». К ним относятся результаты 5-летних исследований 111-202 и 111-205; стендовая презентация данных опроса лиц, осуществляющих уход за страдающими ахондроплазией; плакат с промежуточными результатами исследования доступа к рынку «Значимые результаты»; устная презентация и плакат с результатами исследования BMN 111-501 (LIAISE), наблюдательного исследования влияния на протяжении всей жизни.



Дополнительная информация об исследовании 111-501 (LIAISE) размещена на веб-сайте:

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

Дополнительная информация об исследовании 111-205 размещена на



Дополнительная информация

- Дополнительная информация о клинических исследованиях компании «БиоМарин» размещена на веб-сайте: www.clinicaltrials.gov, для ее просмотра введите код исследования «BMN 111»
- Дополнительная информация о жизни с ахондроплазией и соответствующие ресурсы размещены на веб-сайте: www.achondroplasia.com
- Запросы или отзывы от организаций правовой защиты направляйте по адресу patientadvocacy@bmrn.com
- Свяжитесь с отделом медицинской информации компании «БиоМарин», обратившись по адресу medinfoeu@bmrn.com