

Atrofia Muscular Espinhal (AME)

Estudo para investigar a segurança, tolerabilidade, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia de RO7034067 em participantes com atrofia muscular espinhal (SMA) tipo 2 e 3 (SUNFISH)

Trial Status
Concluído

Trial Runs In
16 Countries

Trial Identifier
NCT02908685 2016-000750-35
BP39055

As informações abaixo foram obtidas diretamente de sites de registro público, como ClinicalTrials.gov, EuClinicalTrials.eu, ISRCTN.com etc., e não foram editadas.

Official Title:

Estudo em duas partes contínuas, multicêntrico, randomizado, controlado por placebo, duplo-cego para investigar a segurança, tolerância, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia de RO7034067 em pacientes que apresentam Atrofia Muscular Espinhal tipo 2 e 3

Trial Summary:

Trata-se de um estudo de Fase II contínuo, multicêntrico, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo para investigar a eficácia, segurança e tolerância, farmacocinética e farmacodinâmica de RO7034067 em pacientes adultos e pediátricos que apresentam SMA Tipo 2 e Tipo 3.

Roche
Sponsor

Fase 2/Fase 3
Phase

NCT02908685 2016-000750-35 BP39055
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
All

Age
2 Years & # 25 Years

Healthy Volunteers
No

Inclusion Criteria:

- Diagnóstico confirmado de SMA autossômica recessiva 5q;
- Exame sanguíneo de gravidez negativo na triagem e concordância em cumprir medidas de prevenção de gravidez e restrições à doação de esperma;

ForPatients

by Roche

- Para a parte 1: SMA tipo 2 ou 3 ambulante ou não ambulante;
- Para a parte 2: 1) SMA tipo 2 ou 3 não ambulante; 2) item de entrada RULM A maior ou igual a 2; 3) capacidade de sentar-se independentemente, conforme avaliado pelo item 9 de MFM.

Exclusion Criteria:

- Participação concomitante ou anterior em qualquer estudo de medicamento ou dispositivo investigacional dentro de 90 dias antes da triagem, ou 5 meias-vidas do medicamento, o que for mais longo;
- Administração concomitante ou anterior de um oligonucleotídeo antisense com alvo em SMN2, modificador de splicing de SMN2 ou terapia **genética** em um estudo clínico ou como parte da assistência clínica
- Qualquer histórico de terapia celular;
- Hospitalização devido a um evento pulmonar dentro dos últimos 2 meses ou planejado no momento da triagem;
- Cirurgia para escoliose ou fixação do quadril no ano anterior à triagem ou planejada para os próximos 18 meses;
- Doenças gastrointestinais, renais, hepáticas, endócrinas ou do sistema cardiovascular instáveis consideradas clinicamente significativas pelo investigador
- Presença de anormalidades eletrocardiográficas clinicamente significativas antes da administração do medicamento do estudo a partir da média de medição em triplicata ou doença cardiovascular indicando um risco de segurança para os participantes, conforme determinado pelo investigador;
- Qualquer doença importante dentro de um mês antes do exame de triagem ou qualquer doença febril dentro de uma semana antes da triagem e até a administração da primeira dose;
- Tratamento iniciado recentemente (menos de [$<$] 6 meses antes da randomização) com salbutamol oral ou outro agonista beta 2 adrenérgico administrado por via oral;
- Não é permitido qualquer uso prévio de cloroquina, hidroxicloroquina, retigabina, vigabatrina ou tioridazina;
- Hipersensibilidade determinada ou presumida (por exemplo, reação anafilática) ao Risdiplam ou aos constituintes de sua formulação;
- Histórico recente (menos de um ano) de doenças oftalmológicas;
- Participantes que necessitam de ventilação invasiva ou traqueostomia.

Para a versão mais recente dessas informações, acesse ForPatients-Roche