

ENSAYO CLÍNICO

ESTUDIO MULTICÉNTRICO, RANDOMIZADO Y A DOBLE CIEGO EN FASE 2/3 PARA DETERMINAR LA EPICACIA Y SEGURIDAD DE DNL310 EN PARTICIPANTES PEDIÁTRICOS CON FORMAS NEURONOPÁTICAS Y NO NEURONOPÁTICAS DE MUCIPOLISACARIDOSIS TIPO II

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05371613

Promotor de estudio: Denali Therapeutics

OBJETIVOS:

Evaluar la eficacia y seguridad de DNL310 en síntomas de SNC y viscerales en pacientes con MPS-II.

DNL310 es una proteína de fusión compuesta del enzima idursulfasa fusionada con una vesícula transportadora (ETV) patentado de Denali, que está diseñada para cruzar la barrera hematoencefálica a través de la transcitosis mediada por receptores. En estudios previos se ha objetivado la capacidad de tratamiento de los síntomas neurológicos con un impacto también en las manifestaciones somáticas.

CENTROS PARTICIPANTES:

Hospital Universitario Niño Jesús Madrid

Hospital Universitario Santiago de Compostela

Hospital Universitario Vall d'Hebron Barcelona

DISEÑO:

Estudio randomizado, a doble ciego, controlado con el tratamiento estándar para MPS-II (tratamiento enzimático sustitutivo: idursulfasa), con infusiones IV semanales. Seguimiento durante 24 meses (cohorte A) o 12 meses (cohorte B). Posibilidad de switch entre los grupos en caso de deterioro cognitivo.

CRITERIOS DE INCLUSIÓN:

Se incluirán pacientes con confirmación mediante estudio genético y enzimático, en dos cohortes:

Cohorte A: pacientes (varones o hembras) entre 2 y 6 años.

Cohorte B: pacientes (varones o hembras entre 6 y 17 años

Los participantes deben reunir determinados criterios en la valoración cognitiva que se realiza en la visita de *screening*:

-Cohorte A: edad mental inferior a 37 meses en el dominio cognitivo de la escala de Bayley

-Cohorte B: IQ mayor o igual a 70 en test de Weschler (WISC-V o WAIS-IV).

ESTADO ACTUAL:

Reclutando

Para más información o posibles pacientes candidatos, contactar vía e-mail:

Dra. María José de Castro. Hospital Universitario Santiago de Compostela mj.decastrol@gmail.com

Dra. Beatriz Bernadino. Hospital Universitario Niño Jesús. Madrid beabc86@hotmail.com

Dra. Mireia del Toro. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Barcelona mireia.deltoro@vallhebron.cat