

TÍTULO DEL ENSAYO CLÍNICO:

**A PHASE III STUDY OF JR-141 IN MUCOPOLYSACCHARIDOSIS TYPE II (HUNTER SYNDROME) PATIENTS**

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT04573023

Promotor de estudio: JCR Pharmaceuticals

OBJETIVOS:

Evaluar la eficacia y seguridad de JR-141 en síntomas de SNC y viscerales en pacientes con MPS-II.

JR-141 (pabinafusp alfa) es un anticuerpo monoclonal, resultado de la fusión del enzima lisosomal iduronato-2-sulfatasa y el anticuerpo anti receptor tipo 1 de transferrina humano, que se expresa en varios tejidos incluyendo el endotelio de la BHE. JR-141 está diseñado para tratar los síntomas de SNC además de los somáticos en el tratamiento del Síndrome de Hunter, por las propiedades que le permiten atravesar la BHE.

CENTROS PARTICIPANTES:

Estudio multicéntrico internacional. En España participa el Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).

DISEÑO:

Estudio randomizado, 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).

CRITERIOS DE INCLUSIÓN:

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

Cohorte A: varones entre 36 y 71 meses.

Cohorte B: varones con edad igual o mayor a 6 años

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

-Cohorte A: coeficiente entre 20-85 en cociente cognitivo de escala BSID-III o bien puntuación menor o igual a 85 en índice no verbal de escala KABC-II.

-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 a unidad de neurometabólicas del Hospital Sant Joan de Déu:

Dra. María del Mar O'Callaghan: [mocallaghan@sjdhospitalbarcelona.org](mailto:mocallaghan@sjdhospitalbarcelona.org)

Dra. Leticia Pías Peleteiro: [lpias@sjdhospitalbarcelona.org](mailto:lpias@sjdhospitalbarcelona.org)