



Asociación Española
Para el Estudio de los Errores Congénitos del Metabolismo

Estimados compañeros

Diferentes centros españoles participan en el ensayo clínico “A Multinational, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Study to Assess the Efficacy, Pharmacodynamics, Pharmacokinetics, and Safety of Venglustat in Late-onset GM2 (AMETHIST)” y quieren hacer extensiva la participación de posibles candidatos de otros centros.

Los criterios clínicos de inclusión los encontraréis en <http://www.clinicaltrials.gov> (Identifier: NCT04221451). La población diana del estudio son pacientes con GM2 (Sandhoff / Tay-Sachs) mayores de 2 años pero se pueden incluir pacientes con enfermedades consideradas ultra-raras: GM1, déficit de Saposina C, Galactosialidosis y Sialidosis.

Si tenéis pacientes que cumplan criterios de inclusión y que puedan estar interesados en participar, no dudéis en contactar con los centros participantes.

Hospital Materno infantil Sant Joan de Déu
Investigational site number 7240001
Paseo de Sant Joan de Déu, 2
Esplugues De Llobregat, Spain, 08950
Investigador Principal: Maria Mar O'Callaghan Gordo, MD
Contacto: Cristina Llanos
E-mail: cllanosp@hsjdbcn.org

Hospital Universitari de Bellvitge.
Investigational site number 7240004
C/ Feixa Llarga, S / N
Hospitalet De Llobregat, Spain, 08907
Investigador Principal: Jordi Gascon Bayarri, MD
Contacto: Elena Fabra
E-mail: efabra@bellvitgehospital.cat

Hospital Clínico Universitario de Santiago-CHUS.
Investigational site number 7240002
C/ Travesia de Chopuana, s/n
Santiago De Compostela, Spain, 15706
Investigador Principal: Maria Couce Pico, MD
Contacto: Sofia Gouveia
E-mail: sofia.bsg@gmail.com

Un cordial saludo

Junta Directiva de AECOM