



## **Programa de desarrollo clínico del síndrome de Sanfilippo tipo B (MPS IIIB) de BioMarin**

### **Información actualizada para familias y asociaciones de pacientes**

**Mayo de 2018**

Queremos ponerle al día sobre el estado de nuestro programa de desarrollo clínico para Sanfilippo B. El programa de BioMarin, que incluye a varios centros de todo el mundo, está formado por tres estudios, descritos a continuación.

El primer estudio es un estudio observacional de niños con Sanfilippo B e incluye pruebas de la función cognitiva y adaptativa. El estudio observacional dura 48 semanas. Las pruebas exploran cómo piensa y adquiere nueva información el niño, así como la forma en la que el niño se enfrenta a la vida diaria. También se realizan evaluaciones del comportamiento y la calidad de vida. Este estudio está diseñado para proporcionar información inicial sobre cómo progresan los niños con Sanfilippo B en ausencia de tratamiento. A continuación, esta información inicial puede compararse con la información sobre la progresión de la enfermedad del estudio de tratamiento de BioMarin (tanto para niños individuales como en conjunto).

El estudio observacional se está realizando en centros de Australia, Colombia, Alemania, España, Taiwán, Turquía Reino Unido y EE. UU. La inclusión en este estudio ya está completa.

Para obtener más información, visite: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT02493998>

El segundo estudio es un estudio de tratamiento en el que niños con Sanfilippo B recibirán un tratamiento sustitutivo de enzimas en investigación, conocido como BMN 250. La enzima se administra directamente en el cerebro como una infusión a través de una vía implantada quirúrgicamente. Para ser incluido en el estudio de tratamiento, el niño deberá haber completado el estudio observacional tal y como se ha indicado anteriormente. Este estudio se está realizando en los mismos centros. Los niños que hayan recibido anteriormente un fármaco en investigación como parte de otro estudio clínico, incluida la terapia génica, no podrán ser incluidos en este estudio.

Para obtener más información, visite: <https://clinicaltrials.gov/show/NCT02754076>

El tercer estudio es un estudio de la evolución natural de niños con Sanfilippo B hasta los 18 años, que no cumplen los criterios de participación en el estudio observacional. Los niños incluidos en este estudio no reciben el tratamiento en investigación. El objetivo de este estudio es comprender mejor la evolución natural del Sanfilippo B.

Para obtener más información, visite: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03227042>

El médico de su hijo seguirá siendo la mejor fuente de información sobre los cuidados del niño y cualquier pregunta o preocupación que tenga deberá consultarla con él.

Si representa a una asociación de pacientes, póngase en contacto con Apoyo al Paciente de BioMarin mediante [patientadvocacy@bmrn.com](mailto:patientadvocacy@bmrn.com). También puede enviar un correo electrónico al Departamento de Información Médica de BioMarin [medinfo@bmrn.com](mailto:medinfo@bmrn.com)

Para obtener más información sobre estudios clínicos activos, incluidos de Sanfilippo tipo B, visite [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) o <https://www.clinicaltrialsregister.eu/>