

Actualización sobre asociaciones con PKU

En BioMarin nos complace informar a la comunidad sobre nuestro programa de ensayos clínicos con terapia génica para PKU.

El tratamiento génico en investigación de BioMarin, BMN 307, se está estudiando actualmente en adultos con PKU. Un medicamento en investigación es un fármaco que se está estudiando para ver si es seguro y eficaz para tratar una afección en particular. El uso de BMN 307 no está autorizado y tampoco se ha establecido que sea seguro o eficaz.

Las personas que se incluyen en estos estudios son cruciales para la investigación en curso sobre la PKU y la seguridad y eficacia de BMN 307. Nuestro más profundo agradecimiento a todas las personas que participan en nuestros estudios clínicos.

Estudios en curso



307-201: estudio de evaluación de la dosis

307-201, también conocido como “Phearless”, actualmente está inscribiendo participantes, y el primer paciente ya recibió una dosis en septiembre en el Reino Unido. El estudio se ha diseñado para estudiar la seguridad y el efecto de BMN 307 en pacientes adultos con PKU. Los participantes recibirán una única administración de BMN 307 y se les realizará un seguimiento durante un máximo de 5 años para determinar la seguridad y la eficacia.

- Edad igual o superior a 15 años
- Niveles de Phe > 600 µmol/l
- Nunca ha tomado Kuvan® o Palynziq® o ha interrumpido su uso debido a la falta de eficacia



Para obtener más información sobre el estudio 307-201, visite:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04480567>

307-902: estudio observacional

La inscripción en el estudio 307-902, también conocido como “Phenom”, se ha pausado temporalmente. En este estudio no se utilizan medicamentos en investigación. Los datos de este estudio se compararán con los de los estudios de BioMarin que traten a participantes con BMN 307 para conocer mejor los efectos del medicamento en investigación.



Para obtener más información sobre el estudio 307-902, visite:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04452513>



Para obtener información adicional sobre los estudios clínicos de PKU de BioMarin:

- Visite www.clinicaltrials.gov escriba el código del estudio BMN 307
- Para consultas o comentarios de organizaciones de defensa del paciente, escriba a patientadvocacy@bmrn.com
- Puede ponerse en contacto con el servicio de información médica de BioMarin a través del correo electrónico medinfoeu@bmrn.com