

Col·laboracions entre Centres

Grup de treball de Neurologia Pediàtrica de la SCP

Motiu (assenyalar amb):

- Trobar pacients per a un assaig clínic
- Trobar pacients per a un estudi prospectiu
- Trobar pacients per a un estudi retrospectiu
- Trobar experts sobre un tema
- Enquesta general

Patologia: Atàxia telangièctasia

Resum breu del projecte:

L'assaig clínic EdyDex Fase 3 NEAT és un assaig clínic internacional, multicèntric, aleatoritzat, doble cec i controlat amb placebo per a avaluar els efectes neurològics d'EryDex en pacients amb AT. L'estudi planeja inscriure a tot el món aproximadament 86 pacients amb atàxia telangiectàsia d'entre 6 i 9 anys, i uns 20 pacients de 10 anys o més. Els participants seran assignats a l'atzar entre EryDex o placebo, i el tractament consistirà en 6 infusions programades cada 21 a 30 dies. El criteri de valoració principal d'eficàcia es mesurarà pel canvi des de l'inici fins a la finalització de l'última visita en l'Escala de qualificació d'atàxia cooperativa internacional modificada (RmlCARS). Els participants que compleixin el període de tractament complet, compleixin les avaluacions de l'estudi i donin el seu consentiment informat seran elegibles per a la transició a un estudi d'extensió d'etiqueta oberta (OLE).

Principals criteris:

Criteris d'inclusió:

- Diagnòstic clínic amb confirmació genètica
- Ha de tenir marxa autònoma o amb suport periòdic (puntuació ICARS per a l'ítem 1 entre 0 i 4).
- El subjecte ha de tenir almenys 6 anys en el moment de la primera dosi.
- Pes corporal mínim de 15 kg.
- Consentiment informat proporcionat pel subjecte o pels tutors legals si és menor d'edat.

Criteris d'exclusió:

- Discapacitat que impedeixi complir amb els requisits de l'estudi.
- Participació actual en un altre estudi clínic (exceptuant estudis no intervencionals amb aprovació).
- Dèficit immunitari significatiu (p.e., comptatge baix de limfòcits CD4+).
- Historial d'immunodeficiència greu o malalties neoplàsiques no en remissió des de fa almenys 2 anys.
- Malaltia pulmonar severa o inestable que impacti la participació en l'estudi.

- Diabetis no controlada o altres condicions greus que posin en risc la salut del subjecte.
- Nivells anormals en proves de laboratori que es considerin preocupants pels investigadors.
- Participació prèvia en un assaig amb EryDex o ús recent d'esteroides orals/parenterals.

Contacte:

-Persona: David Gómez Andrés

-Correu: david.gomezandres@vallhebron.cat

-Telèfon: +34934893156