

¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico, también llamado estudio de investigación clínica, evalúa un medicamento o tratamiento en investigación en una población de voluntarios. Todos los medicamentos nuevos pasan por el proceso del estudio clínico, por lo que los participantes desempeñan un papel muy importante en el avance de la medicina para las generaciones presentes y futuras.

Acerca del ensayo clínico juMPStart

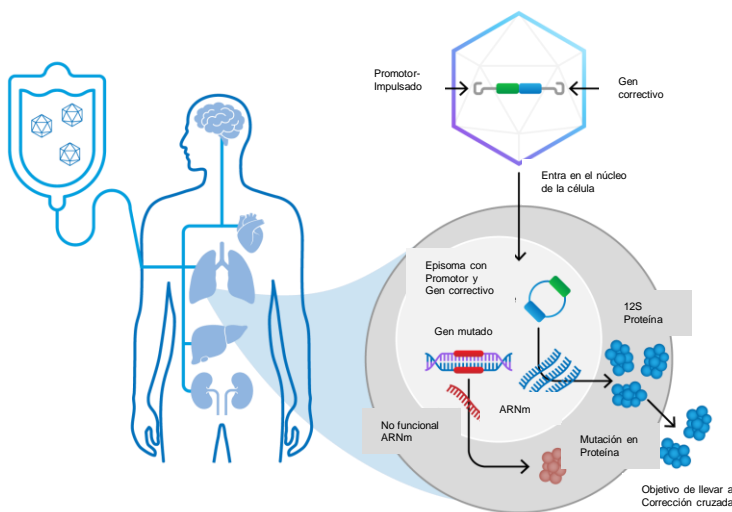
Homology Medicines está llevando a cabo un ensayo clínico, que actualmente está reclutando pacientes, para evaluar la seguridad y la eficacia de su terapia génica en investigación una vez *in vivo* HMI-203 el uso de la terapia génica en adultos con mucopolisacaridosis tipo II (MPS II) o síndrome de Hunter.

¿Qué es el síndrome de Hunter? La MPS II, o síndrome de Hunter, es un trastorno de almacenamiento lisosómico ligado al cromosoma X raro causado por mutaciones en el gen de la iduronato-2-sulfatasa (*IDS*), que es responsable de producir la enzima I2S que descompone moléculas de azúcar grandes o desechos celulares, denominados glucosaminoglucanos (GAG). El síndrome de Hunter grave provoca una acumulación lisosómica tóxica de GAG que causa debilitamiento progresivo y deterioro de la función intelectual. El síndrome de Hunter se produce en aproximadamente 1 de cada 100,000 y 1 de cada 170,000 hombres, y la forma grave provoca una esperanza de vida de 10 a 20 años.

¿Qué es HMI-203? HMI-203 está diseñado para usar uno de los vectores de virus adenoasociados derivados de células madre hematopoyéticas humanas (AAVHSC) de Homology para administrar copias funcionales del gen *IDS* a múltiples órganos en los que faltan copias o hay copias mutadas del gen. La aplicación HMI-203 está destinada a permitir la producción de la enzima I2S, responsable de descomponer los GAG, que se acumulan y provocan debilitamiento progresivo y acortan la esperanza de vida en las personas con síndrome de Hunter.

Paso 1: un paciente podría recibir una única administración intravenosa (i.v.) de HMI-203.

Paso 2: HMI-203 podría llegar a órganos de todo el cuerpo (órganos periféricos) y al sistema nervioso (cruzando las barreras hematoencefálicas y hematonerviosa) donde se requiere la proteína I2S para eliminar la acumulación de GAG.



Este enfoque se encuentra en investigación como posible tratamiento para pacientes adultos con síndrome de Hunter.

Paso 3: El HMI-203 génica podría entrar en las células, donde administraría el gen funcional y el patrocinator, lo que ayudará a "activar" el gen.

Paso 4: HMI-203 podría dar lugar a la expresión de la proteína I2S y a la reducción sistemática de los GAG.

Paso 5: Objetivo de llevar a la corrección cruzada.

¿Qué es el ensayo clínico juMPStart?

El ensayo de fase 1 juMPStart es un estudio abierto de aumento gradual de la dosis diseñado para evaluar hasta tres dosis de HMI-203. Se espera que el ensayo inscriba a pacientes varones de 18 a 45 años a los que se les haya diagnosticado síndrome de Hunter y que estén recibiendo actualmente terapia de reemplazo de enzimas (TRE). Además de los criterios de valoración de la seguridad, el ensayo planea medir la actividad plasmática de I2S, los niveles de GAG en orina y otras manifestaciones de la enfermedad periférica.

¿Qué implica la participación en el ensayo juMPStart?

Período de selección: el ensayo incluirá una selección para garantizar que los participantes cumplan los criterios de elegibilidad para inscribirse en el estudio.

Período del estudio: Después de una dosis única por vía i.v. de HMI-203, se observará a los participantes periódicamente durante 52 semanas.

Período de seguimiento: se verá a los participantes con menos frecuencia durante otros cuatro años.