



Abierto  
Reclutando  
Pacientes

# Estudio Clínico de BIOGEN- BIIB Colombia

# DEVOTE



## OFICINA DE INVESTIGACIONES

Bogotá D.C., 6 de mayo de 2022

Estimados Señores

**FUNDACIÓN ATROFIA MUSCULAR ESPINAL COLOMBIA SARA Y SOFÍA (FAMECOL S&S)**

Asunto: Invitación al estudio clínico: Estudio de incremento de la dosis, aleatorizado y controlado de nusinersen (BIIB058) en participantes con atrofia muscular espinal-DEVOTE.

Respetados Señores,

El Centro de Investigaciones del Hospital Universitario San Ignacio conduce el estudio clínico "Estudio de incremento de la dosis, aleatorizado y controlado de nusinersen (BIIB058) en participantes con atrofia muscular espinal-DEVOTE".

El estudio DEVOTE pretende determinar si una dosis más alta del medicamento nusinersen puede ofrecer mayores beneficios clínicos a los pacientes, de forma segura. Todos los pacientes recibirán el medicamento del estudio, la única diferencia entre pacientes es que algunos tendrán asignada una dosis mayor o menor.

Este estudio permite la inclusión de pacientes que cumplan los siguientes criterios:

1. **AME tipo 1**, con diagnóstico genético (AME 5q).
2. Edad igual o menor a **7 meses**.
3. Paciente **sin soporte ventilatorio** para el momento del ingreso al estudio.



Nuestra experiencia con las familias y pacientes a través del estudio ha sido muy positiva, nos permite hacer un mejor seguimiento de la enfermedad y ofrecer una terapia aprobada<sup>1</sup>.

Los participantes de departamentos diferentes a Bogotá D.C. tienen cobertura para sus gastos de desplazamiento, alimentación y alojamiento durante las actividades programadas en el Centro de Investigaciones HUSI.

Le agradecemos contactar a los investigadores del estudio si conoce a pacientes que se puedan beneficiar del estudio:

- Dr. Fernando Suárez-Obando. Investigador Principal. M.D. especialista en Genética Médica. Tel. +5715 3614026
- Dra. Edna Bobadilla. Sub Investigadora. M.D., especialista en Neurología Pediátrica. Experta en Enfermedades Neuromusculares. Tel: +57 3103402571
- Dra. Stela Baracaldo. Sub Investigadora. M.D. Epidemióloga. Tel. +57 3176478013.

Cordialmente,

**FERNANDO SUÁREZ-OBANDO**  
Médico Investigador Principal  
Unidad de Genética  
Hospital Universitario San Ignacio  
Carrera 7ª No 40-62 Piso 2

**EDNA BOBADILLA QUESADA**  
Médica Sub Investigadora  
Unidad Neurociencias  
Hospital Universitario San Ignacio  
Carrera 7ª No 40-62 Piso 2

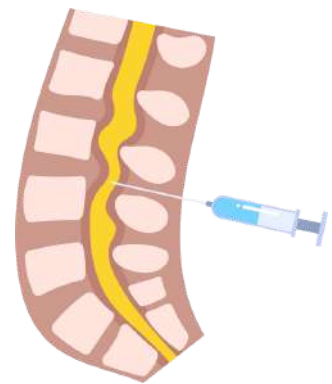
<sup>1</sup> La FDA aprobó nusinersen en diciembre de 2016, EMA aprobó su uso en mayo de 2017. En Colombia, el Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos (INVIMA) otorgó el registro sanitario en abril de 2019. <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/VS/MET/lineamiento-nusinersen-mmps-iets.pdf>

Abierto  
Reclutando  
Pacientes

## Estudio Clínico de BIOGEN- BIIB Colombia

# DEVOTE

El estudio **DEVOTE** Es un ensayo clínico patrocinado por BIOGEN BIIB Colombia, para evaluar la seguridad y eficacia de dosis más elevadas de **SPINRAZA** en el tratamiento de la **ATROFIA MUSCULAR ESPINAL (AME)**.



### Algunos de los Criterios de inclusión

Para participantes con inicio de síntomas de  
AME  $\leq 6$  meses ( $\leq 180$  días) de edad  
(inicio infantil)

Para participantes con inicio de síntomas de  
AME  $> 6$  meses ( $> 180$  días) de edad  
(inicio más tardío)

- Edad  $> 1$  semana a  $\leq 7$  meses ( $\leq 210$  días) en el momento del consentimiento informado.
- Número de copia SMN2 = 2
- Inicio de signos y síntomas clínicos compatibles con AME a los  $\leq 6$  meses ( $\leq 180$  días) de edad.
- En el momento de la tamización, el paciente debe recibir una nutrición e hidratación adecuadas, en opinión del Investigador.
- Peso corporal en al menos el tercer percentil para la edad utilizando el método apropiado específico del país.
- Edad gestacional de 37 a 42 semanas para partos únicos y de 34 a 42 semanas para gemelos.

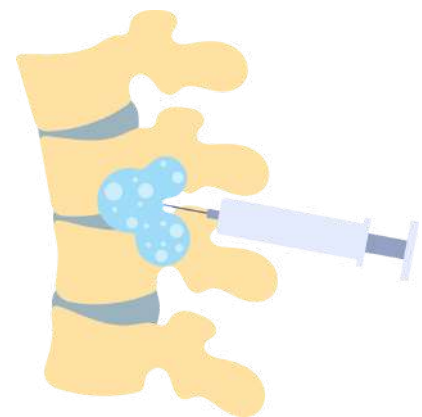
- Inicio de signos y síntomas clínicos compatibles con AME  $a > 6$  meses ( $> 180$  días) de la edad.
- Edad de 2 a  $< 10$  años en el momento del consentimiento informado.
- Puede sentarse de forma independiente, pero nunca ha tenido la capacidad de caminar de forma independiente.
- En el momento del tamizaje, tener una escala funcional motora de Hammersmith expandido (HFMSE)  $\geq 10$  y  $\leq 54$ .
- Esperanza de vida estimada  $> 2$  años, en el momento del tamizaje, en opinión del investigador.



# Estudio Clínico de BIOGEN- BIIB Colombia

# DEVOTE




**Spinraza** fué el primer tratamiento aprobado para la Atrofia Muscular Espinal, actualmente está aprobado en más de 50 países en el mundo.






## Algunos de los Criterios de Exclusión

Para participantes con inicio de síntomas de AME  $\leq 6$  meses ( $\leq 180$  días) de edad (inicio infantil)

Para participantes con inicio de síntomas de AME  $> 6$  meses ( $> 180$  días) de edad (inicio más tardío)

-  Hipoxemia (saturación de O<sub>2</sub> [despierto o dormido]  $\leq 96\%$ , sin soporte de ventilación) en el momento de la tamización.
-  Hipoxemia (saturación de O<sub>2</sub> [despierto o dormido]  $\leq 96\%$ , sin soporte de ventilación) en el momento de la tamización.
-  En el momento de la tamización, el paciente debe recibir una nutrición e hidratación adecuadas, en opinión del Investigador.

-  Insuficiencia respiratoria, definida por la necesidad médica de ventilación invasiva o no invasiva durante  $> 6$  horas durante un período de 24 horas, en el momento de la selección
-  Necesidad médica de una sonda de alimentación gástrica, donde la mayoría de las tomas se administran por esta vía, según la evaluación del investigador
-  Escoliosis severa evidente en el examen de rayos X en la selección (con el participante sentado o sentado con apoyo). Para los sitios con regulación local sobre el uso de rayos X (p. Ej., Alemania), el investigador puede evaluar la escoliosis basándose en un examen físico sin imágenes. i. Ángulo de Cobb  $> 40,0^\circ$  : excluyente para la escoliosis grave. ii. Ángulo de Cobb  $< 33,0^\circ$  : no excluye la escoliosis grave

# Estudio Clínicos ATROFIA MUSCULAR ESPINAL en Colombia

  
**Abierto  
Reclutando  
Pacientes**

## Mayor Información

**FUNDACION ATROFIA MUSCULAR ESPINAL  
DE COLOMBIA  
SARA Y SOFIA (Famecol S&S)**

**Email**

registrodepacientes@famecolombia.org

**teléfono**

+57 316 8531503

[www.famecolombia.org](http://www.famecolombia.org)



### investigadores del estudio

- **Dr. Fernando Suárez-Obando.** Investigador Principal. M.D. especialista en Genética Médica. Tel. +5715 3614026
- **Dra. Edna Bobadilla.** Sub Investigadora. M.D., especialista en Neurología Pediátrica. Experta en Enfermedades Neuromusculares. Tel: +57 3103402571
- **Dra. Stela Baracaldo.** Sub Investigadora. M.D. Epidemióloga. Tel. +57 3176478013



Más información sobre el ensayo  
(NCT04089566) está disponible en  
[clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).