

**NCT04768972**

(FUS-ALS) Estudo de fases 1-3 que avalia a eficácia, segurança, farmacocinética e farmacodinâmica do ION363 intratecal em pacientes com ELA e mutações em fusão de sarcoma.

**DESENHO** Estudo Clínico Fase III

**TÍTULO ORIGINAL** A Phase 1-3 Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of Intrathecally Administered ION363 in Amyotrophic Lateral Sclerosis Patients With Fused in Sarcoma Mutations (FUS-ALS)

**RESUMO** Este estudo investiga a eficácia, segurança, farmacocinética e farmacodinâmica do ION363 administrado por via intratecal em pacientes com esclerose lateral amiotrófica que possuem mutações no gene fused in sarcoma. A população-alvo inclui indivíduos diagnosticados com FUS-ALS, e o estudo abrange as fases 1 a 3 para avaliar de forma abrangente a função clínica e os desfechos de sobrevivência. O objetivo principal é determinar o impacto do ION363 na melhoria da condição clínica e na extensão da sobrevivência desses pacientes.

**PACIENTE IDEAL** Um jovem, com idade entre 10 e 30 anos, apresentando sinais de ELA com uma mutação genética confirmada no gene FUS, é ideal para este estudo. Eles devem ter uma capacidade vital lenta em posição sentada de pelo menos 50% do valor previsto, ou se for menor, devem ter experimentado sintomas de ELA nos últimos 12 meses. O paciente deve estar em uma dose

estável de edaravona, riluzol, Relyvrio, fenilbutirato de sódio ou ácido tauroursodesoxicólico por pelo menos 28 dias e manter medicamentos concomitantes estáveis e suporte nutricional por um mês. As mulheres não devem estar grávidas ou amamentando, e todos os participantes devem aderir aos requisitos de contracepção. Além disso, devem ter um informante ou cuidador confiável para fornecer informações precisas sobre suas habilidades cognitivas e funcionais ao longo do estudo.

**PATROCINADOR** Ionis Pharmaceuticals, Inc.

Para informações completas, acesse o estudo no [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).

Centros Participantes

ADICIONAR CENTRO



## RECRUTAMENTO ATIVO

SP PSEG 04038-002, São Paulo

REPORTAR ERRO