

**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** Paciente adulto ou adolescente com 10 anos ou mais, apresentando sinais ou sintomas consistentes com ELA e uma mutação genética confirmada no gene FUS, verificada por um laboratório certificado pela CLIA e marcado pela CE. O paciente deve ter uma capacidade vital lenta em posição ereta de pelo menos 50% do valor previsto, ou se for menor, ter entre

10 a 30 anos com início dos sintomas de ELA nos últimos 12 meses. Eles devem estar em uma dose estável de edaravona, riluzol, Relyvrio, fenilbutirato de sódio ou ácido tauroursodesoxicólico por pelo menos 28 dias antes do estudo e manter medicamentos concomitantes estáveis e suporte nutricional por pelo menos um mês. Os critérios de exclusão incluem a necessidade de ventilação permanente, presença de outras variantes genéticas patogênicas para ELA-FTD, testes positivos para HIV, HCV ou HBV, e doenças cerebrais ou espinhais significativas que interfiram na punção lombar. O paciente não deve ter histórico de malignidade no último ano, exceto para certos cânceres de pele ou carcinoma in situ do colo do útero, e não deve ter participado recentemente de outros estudos clínicos intervencionistas.

**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](#)