

Advocacy Post Optie 1

Over barrières heen reiken bij het syndroom van Hunter

COMPASS is een wereldwijde klinische fase 2/3-studie die is opgezet om te begrijpen of een enzymvervangings therapie (EVT), genaamd **DNL310**, neurocognitieve componenten van het syndroom van Hunter (MPS II) zou kunnen behandelen, zoals ontwikkelingsachterstanden, storend gedrag en verminderde cognitie naast lichamelijke symptomen.

Wat zijn de studiegeneesmiddelen?

DNL310 is een experimentele EVT. In tegenstelling tot huidige EVT is DNL310 ontworpen om de hersenen te bereiken. **Door medicatie doorheen de bloed-hersenbarrière af te leveren, willen we begrijpen of DNL310 een impact zou kunnen hebben op de neurocognitieve componenten van het syndroom van Hunter, zoals ontwikkelingsachterstanden, ontwrichtend gedrag en verminderde cognitie, naast de lichamelijke symptomen in vergelijking met bestaande EVT.**

Als je kind deelneemt aan de COMPASS-studie, zal het worden toegewezen om ofwel DNL310, ofwel Elaprase® (idursulfase; de huidige standaardbehandeling voor het syndroom van Hunter) te krijgen, eenmaal per week als intraveneuze (i.v.) infusie. **Voor elke twee kinderen die aan DNL310 worden toegewezen, wordt één kind aan Elaprase® (idursulfase) toegewezen tijdens de behandelingsperiode.**

Wie kan in aanmerking komen voor deelname aan de COMPASS-studie?

Afhankelijk van zaken zoals leeftijd en type syndroom van Hunter, worden kinderen die deelnemen aan COMPASS toegewezen aan één van de twee groepen, die cohorten worden genoemd.

We nemen ongeveer 33 kinderen op in Cohort A die:

- **neuropathisch** syndroom van Hunter hebben
- tussen 2 en 5 jaar oud zijn

We nemen ongeveer 21 kinderen op in Cohort B die:

- **niet-neuropathisch** syndroom van Hunter hebben
- tussen 6 en 16 jaar oud zijn

Deelnemers aan beide cohorten moeten:

- ten minste 10 kg wegen
- al minstens vier maanden enzymvervangings therapie (Elaprase® [idursulfase]) krijgen
- eerder geen IDS-getherapie of stamceltherapie hebben gekregen

Er zijn aanvullende geschiktheids criteria van toepassing en het studieteam zal deze met je doornemen.

Wat gebeurt er tijdens de COMPASS-studie?

Deze studie zal ongeveer twee jaar duren voor kinderen in cohort A en ongeveer één jaar voor kinderen in cohort B. Deelname omvat wekelijkse bezoeken aan het studiecentrum voor i.v. infusie van het aan het kind toegewezen studiegeneesmiddel, een bloedafname en een controle van de vitale functies. Kinderen zullen ongeveer om de drie maanden bezoeken afleggen die meer gedetailleerde onderzoeken omvatten met ruggenprikken (soms lumbaalpuncties genoemd) en MRI-scans van hoofd en buik (magnetische resonantiebeeldvorming) ongeveer om de zes maanden.

Wat is nog belangrijk om te weten over de COMPASS-studie?

Sommige kinderen kunnen van studiegeneesmiddel wisselen als dit op basis van bepaalde vooraf bepaalde criteria klinisch noodzakelijk lijkt. ***In deze studie zijn er geen deelnemers die een placebo krijgen.***

Wat gaat er nu gebeuren?

Ga voor meer informatie over deelname aan de COMPASS-studie naar [URL.com]

DNL310 is een experimenteel geneesmiddel en is niet goedgekeurd door een gezondheidsautoriteit.

Advocacy Post Optie 2

Over barrières heen reiken bij het syndroom van Hunter

In de COMPASS klinische studie wordt de veiligheid en werkzaamheid onderzocht van een experimentele enzymvervangingstherapie (EVT), genaamd **DNL310**. In tegenstelling tot huidige EVT is DNL310 ontworpen om de hersenen te bereiken. **Door medicatie doorheen de bloed-hersenbarrière af te leveren, willen we begrijpen of DNL310 een impact zou kunnen hebben op de neurocognitieve componenten van het syndroom van Hunter (MPS II), zoals ontwikkelingsachterstanden, ontwrichtend gedrag en verminderde cognitie, naast de lichamelijke symptomen in vergelijking met bestaande EVT.**

Denk je dat je gezin misschien geïnteresseerd is? Bezoek [\[URL.com\]](#) voor meer informatie.

DNL310 is een experimenteel geneesmiddel en is niet goedgekeurd door een gezondheidsautoriteit.