

Option de campagne de publication n° 1

Franchir les barrières dans la maladie de Hunter

COMPASS est une étude clinique internationale de phase II/III qui vise à déterminer si une enzymothérapie substitutive (ETS) expérimentale appelée « **DNL310** » peut traiter, en plus des symptômes physiques, les composantes neurocognitives de la maladie de Hunter (MPS II), comme les retards de développement, les comportements perturbateurs et les troubles de la cognition.

Quels sont les médicaments de l'étude ?

Le DNL310 est une ETS expérimentale. Contrairement aux ETS actuellement disponibles, le DNL310 est conçu pour parvenir au cerveau. **En administrant un médicament qui franchit la barrière hémato-encéphalique, nous voulons comprendre si, en comparaison avec les ETS existantes, le DNL310 peut avoir un effet, non seulement sur les symptômes physiques, mais également sur les composantes neurocognitives de la maladie de Hunter, comme les retards de développement, les comportements perturbateurs et les troubles de la cognition.**

Les enfants participant à l'étude COMPASS recevront soit le DNL310, soit l'Elaprase® (idursulfase, l'ETS de référence actuelle pour la maladie de Hunter) par perfusion intraveineuse (IV) hebdomadaire. Pendant la période de traitement, **deux enfants sur trois recevront le DNL310, et un enfant sur trois l'Elaprase® (idursulfase).**

Qui est susceptible de pouvoir participer à l'étude COMPASS ?

En fonction de critères tels que l'âge et le type de maladie de Hunter dont ils souffrent, les enfants participant à l'étude COMPASS seront placés dans l'un des deux groupes de l'étude, appelés « cohortes ».

Nous recrutons pour la cohorte A environ 33 enfants qui :

- souffrent d'une maladie de Hunter **avec atteinte neurologique** ;
- sont âgés de 2 à 5 ans.
- *Exemple de publication Facebook*
- Nous recrutons pour la cohorte B environ 21 enfants qui :
- souffrent d'une maladie de Hunter **sans atteinte neurologique** ;
- sont âgés de 6 à 16 ans.

Les participants des deux cohortes doivent :

- peser au moins 10 kg ;
- avoir reçu une ETS (Elaprase® [idursulfase]) pendant au moins quatre mois ;
- n'avoir jamais reçu de thérapie génique pour suppléer l'IDS défectueux ni de thérapie par cellules souches.

D'autres critères d'admissibilité sont d'application. L'équipe de l'étude vous les expliquera.

Que se passera-t-il pendant l'étude COMPASS ?

Cette étude durera environ deux ans pour les enfants placés dans la cohorte A et environ un an pour les enfants placés dans la cohorte B. La participation prévoit des visites hebdomadaires au centre d'étude pour l'administration du médicament de l'étude par perfusion IV, pour le prélèvement d'échantillons de sang et pour l'évaluation des paramètres vitaux. Lors de certaines visites, des évaluations plus approfondies seront réalisées, notamment une ponction lombaire (parfois appelée « rachicentèse ») tous les trois mois environ et un examen d'imagerie par résonance magnétique (IRM) de la tête et de l'abdomen tous les six mois environ.

Quels autres éléments est-il important de connaître à propos de l'étude COMPASS ?

Certains enfants pourraient changer de médicament de l'étude si cela semble nécessaire d'un point de vue clinique, sur la base de critères prédéfinis. ***Aucun participant à cette étude ne recevra de placebo.***

Quelle est la prochaine étape ?

Pour en savoir plus sur la participation à l'étude COMPASS, n'hésitez pas à consulter le site Internet [URL.com].

Le DNL310 est un médicament expérimental et n'est approuvé par aucune autorité de réglementation.

Option de campagne de publication n° 2

Franchir les barrières dans la maladie de Hunter

L'étude clinique COMPASS évalue la sécurité d'emploi et l'efficacité d'une enzymothérapie substitutive (ETS) expérimentale appelée « **DNL310** ». Contrairement aux ETS actuellement disponibles, le DNL310 est conçu pour parvenir au cerveau. **En administrant un médicament qui franchit la barrière hémato-encéphalique, nous voulons comprendre si, en comparaison avec les ETS existantes, le DNL310 peut avoir un effet, non seulement sur les symptômes physiques, mais également sur les composantes neurocognitives de la maladie de Hunter (MPS II), comme les retards de développement, les comportements perturbateurs et les troubles de la cognition.**

Vous pensez que cela pourrait intéresser votre famille ? Pour en savoir plus, consultez le site [URL.com].

Le DNL310 est un médicament expérimental et n'est approuvé par aucune autorité de réglementation.