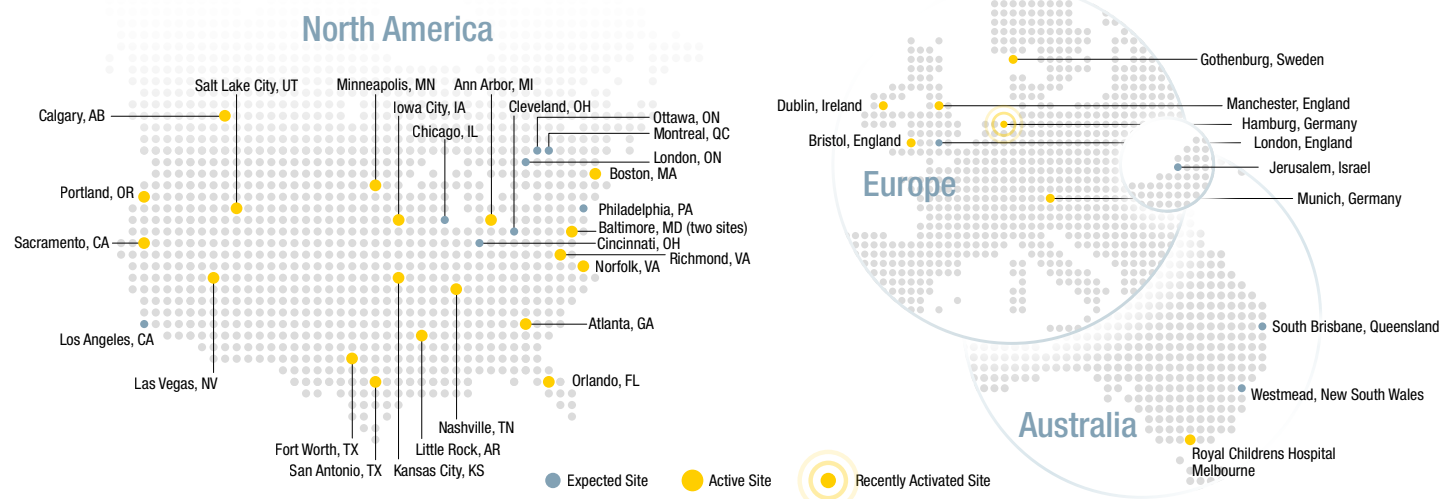


Actualizaciones sobre edasalonexent  
y ensayos clínicos

## ¡PolarisDMD le da la bienvenida a los centros europeos!

### 27 centros globales están abiertos actualmente para la inscripción

Los centros del ensayo clínico en Europa se encuentran abiertos en este momento para la inscripción en Bristol y Mánchester, Inglaterra; Múnich y Hamburgo, Alemania; Dublín, Irlanda; y Gotemburgo, Suecia, y se esperan centros adicionales en Europa en las próximas semanas. ¡Esto significa que PolarisDMD ahora está activo en 7 países! En el ensayo clínico de fase 3 PolarisDMD sobre edasalonexent en Duchenne, se están inscribiendo niños de 4 a 7 años (hasta el cumpleaños número 8), independientemente del tipo de mutación, que no han recibido esteroides durante los últimos 6 meses.



## UNA TRANSICIÓN SENCILLA PARA LOS NIÑOS Y SUS FAMILIAS

### PRESENTACIÓN DE

# GALAXY DMD

GalaxyDMD es un estudio de extensión abierto lanzado recientemente. Está diseñado para recopilar datos a largo plazo en niños que reciben edasalonexent a medida que crecen y para brindar la oportunidad de continuar recibiendo el fármaco mientras edasalonexent se encuentra en desarrollo clínico. Todos los niños del ensayo de fase 2 MoveDMD realizarán la transición a GalaxyDMD una vez que completen su visita final en MoveDMD, lo que a menudo se puede realizar en la misma visita. Cuando los niños en el ensayo de fase 3 PolarisDMD completen el ensayo de 12 meses, también tendrán la oportunidad de realizar la transición a GalaxyDMD. Para mayor comodidad, ahora que hay centros adicionales abiertos para el estudio de fase 3 PolarisDMD, hay flexibilidad para los niños que participaron en el ensayo de fase 2 MoveDMD, quienes pueden reubicarse en un centro más cerca de su hogar, en caso de que lo deseen. Y nos complace especialmente informar que una vez que los niños de MoveDMD y PolarisDMD ingresen a GalaxyDMD, sus hermanos de 4 a 10 años (hasta el cumpleaños número 11) que cumplan con los criterios de inclusión también podrán participar en GalaxyDMD y recibir edasalonexent. Las visitas al centro para GalaxyDMD se realizan una vez cada 6 meses.



# EDASALONEXENT: EL POTENCIAL PARA PRESERVAR LA FUNCIÓN MUSCULAR EN NIÑOS CON DUCHENNE

La medición del resultado principal en el ensayo de fase 3 PolarisDMD (también denominado “criterio de valoración”) es la Evaluación Ambulatoria North Star (North Star Ambulatory Assessment, NSAA), que se diseñó para evaluar la función muscular en niños ambulatorios afectados por Duchenne. La NSAA consta de 17 mediciones diferentes que se asemejan a las actividades de la vida diaria, como pararse en una pierna o levantarse de la silla.

## ¿Por qué seleccionamos la NSAA como criterio de valoración principal de fase 3?

- En nuestro estudio y extensión abierta de fase 2 MoveDMD, cuando no se recibió el tratamiento, observamos una disminución en el puntaje promedio de NSAA de los niños, lo que sugiere que la función muscular estaba disminuyendo.
- Una vez que los niños recibieron edasalonexent durante 72 semanas, observamos que sus puntajes de NSAA se estabilizaron en gran medida, lo que sugiere que se preservó la función muscular.
- También observamos evidencia en respaldo de la preservación de la función muscular con edasalonexent en todas las demás pruebas de la función cronometradas, que incluyeron tiempo para pararse, caminata/carrera de 10 metros y subir una escalera de 4 escalones, en comparación con el control sin tratamiento.

**Estamos evaluando la NSAA y estas mismas pruebas de la función cronometradas en el ensayo de fase 3 PolarisDMD.**

## Acerca de edasalonexent (CAT-1004)

Edasalonexent inhibe NF-κB, una proteína que desempeña una función fundamental en la enfermedad esquelética y del músculo cardíaco en la distrofia muscular de Duchenne (Duchenne Muscular Dystrophy, DMD). Al inhibir NF-κB, edasalonexent tiene el potencial de reducir la inflamación y la fibrosis, promover la regeneración muscular y retrasar la evolución de la enfermedad. Edasalonexent se está desarrollando como una posible terapia independiente y también tiene el potencial de combinarse con terapias dirigidas a la distrofia.

## EN CONEXIÓN CON LA COMUNIDAD

### ¿Se perdió nuestro seminario web reciente con CureDuchenne?

Eche un vistazo [aquí](#)

**CureDuchenne Cares:** Catabasis asistirá el **4 de mayo en Albuquerque, NM** y el **1 de junio en Detroit, MI**. Obtenga toda la información sobre estos talleres educativos de inmersión en [www.cureduchenne.org/workshops](http://www.cureduchenne.org/workshops).

**Jesse's Journey:** participe en Defeat Duchenne Family Forum el **25 de mayo en London, Ontario** para obtener actualizaciones sobre investigación y ensayos clínicos adaptadas a las familias canadienses afectadas por Duchenne. Obtenga más información en [www.jessesjourney.com/familyforum](http://www.jessesjourney.com/familyforum).

**Jett Foundation Family Workshops:** Catabasis asistirá al taller realizado el **18 de mayo en Seattle, Washington**. Obtenga toda la información sobre el programa de educación nacional de Jett Foundation en [www.jettfoundation.org/familyworkshops](http://www.jettfoundation.org/familyworkshops).

**PPMD Annual Conference:** únase a nosotros del **26 al 30 de junio en Orlando, FL** en la 25th Annual Conference de PPMD para familias, médicos, investigadores, cuidadores, socios de la industria y las personas que viven con Duchenne, a fin de recopilar información sobre todos los temas relacionados con Duchenne y debatir al respecto. Para obtener más información sobre este evento, visite [www.parentprojectmd.org/get-involved/attend-events/annual-conference/](http://www.parentprojectmd.org/get-involved/attend-events/annual-conference/).

## ¡Manténgase en contacto!

Forme parte de nuestra lista de correo: <http://www.catabasis.com/patients-families/for-further-information.php>

Síguenos en @CatabasisPharma.

Haga una pregunta sobre el ensayo: [DMDtrials@catabasis.com](mailto:DMDtrials@catabasis.com)



La información que se proporciona aquí está destinada a los padres y los cuidadores de niños con distrofia muscular de Duchenne. Edasalonexent es un fármaco en investigación que aún no está aprobado en ningún territorio.

