

¡Conozca la historia detrás de la experiencia en PolarisDMD!

A continuación, se presenta un ejemplo de cómo sería para una familia participar en nuestro ensayo PolarisDMD:

El papá o la mamá de John visita clinicaltrials.gov para ver si PolarisDMD es una buena opción para John en función de los requisitos de elegibilidad.

Su papá o mamá escribe a DMDtrials@catabasis.com para obtener respuestas a cualquier pregunta y se lo conecta con el centro del ensayo clínico que está más cercano a su hogar.

La familia de John se entera que Catabasis pagará los gastos, lo que incluye los **vuelos, los **traslados**, los **hoteles** y las **comidas** para todas las visitas al centro.**

En la visita de selección de John, este realiza pruebas cronometradas como...

- Pararse desde el suelo
- Caminar 10 metros
- Subir cuatro escalones

¡No se realizan biopsias musculares ni resonancias magnéticas!

John cumple con los criterios de ingreso durante la visita de selección y regresa para la **visita inicial, en la que se lo inscribe en el ensayo PolarisDMD. John comienza a tomar el fármaco del estudio ese día (**2 niños reciben edasalonexent por cada niño que recibe el placebo**).**

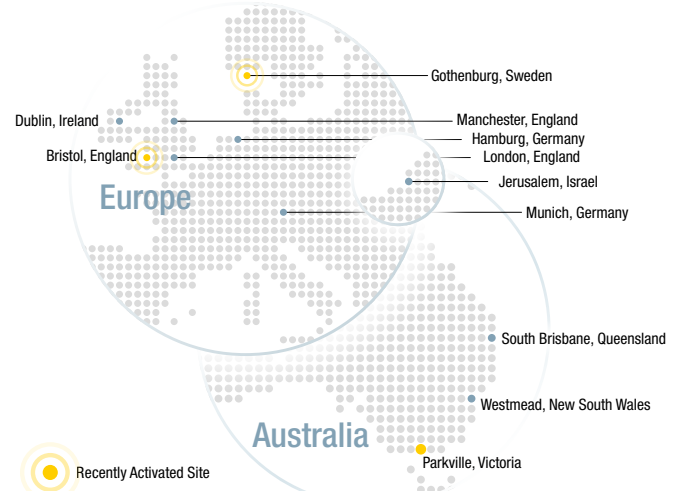
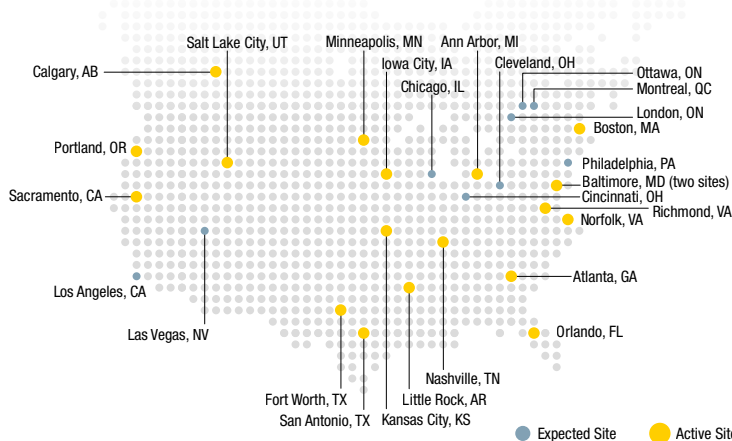
John y su familia regresan al centro del ensayo clínico **una vez cada tres meses durante el ensayo. John y su familia hablan con el centro entre las visitas para compartir cómo se encuentran en el ensayo.**

En su casa, **John toma 2 o 3 cápsulas con alimentos 3 veces al día durante todo el ensayo. Después de completar el ensayo PolarisDMD, John sería elegible para participar en el estudio GalaxyDMD (para recibir edasalonexent en una extensión abierta).**

¡ACTUALIZACIÓN DEL CENTRO PARA EL ESTUDIO GLOBAL DE FASE 3 PolarisDMD!

La inscripción de niños de 4 a 7 años (hasta el cumpleaños número 8) con distrofia muscular de Duchenne (Duchenne Muscular Dystrophy, DMD) continúa; **la mayoría de los centros planificados está realizando inscripciones en los EE. UU. y ahora hay una serie de centros internacionales abiertos!** En PolarisDMD, se están inscribiendo niños, independientemente del tipo de mutación, que no han recibido esteroides durante los últimos 6 meses. Escriba a DMDtrials@catabasis.com si tiene preguntas y para encontrar el centro más cercano a su hogar.

North America



EL ÚLTIMO RESPALDO PARA EDASALONEXENT COMO TERAPIA DE BASE POSIBLE

El mes pasado, compartimos resultados adicionales de nuestro ensayo y extensión abierta de fase 2 MoveDMD en la XVII Conferencia Internacional de la distrofia muscular de Duchenne y Becker. En este ensayo clínico, los niños que recibieron edasalonexent crecieron adecuadamente en función de la edad tanto en estatura como en peso: crecieron un promedio de 2.1 pulgadas de alto por año y aumentaron 2.9 libras por año. Esto derivó en una disminución del IMC que alcanzó el IMC promedio de niños no afectados. **Nos emociona ver que los niños que reciben edasalonexent continúan creciendo como sus pares no afectados, al mismo tiempo que también presentan un retraso en la evolución de la enfermedad en comparación con un período de control sin tratamiento.**

Acerca de edasalonexent (CAT-1004)

Edasalonexent inhibe NF-kB, una proteína que desempeña una función fundamental en la enfermedad esquelética y muscular en la DMD. Al inhibir NF-kB, edasalonexent tiene el potencial de reducir la inflamación y la fibrosis, promover la regeneración muscular y retrasar la evolución de la enfermedad. Edasalonexent se diseñó como una terapia independiente y también puede mejorar la eficacia de las terapias dirigidas a la distrofina.

EN CONEXIÓN CON LA COMUNIDAD

¡Seminario web del 28 de marzo! Catabasis es coanfitrión de un seminario web con CureDuchenne. ¿Desea obtener toda la información sobre PolarisDMD y nuestro nuevo ensayo GalaxyDMD? ¡Asegúrese de [registrarse!](#)



CureDuchenne Cares: Catabasis asistirá el **27 de abril en Chicago, IL** y el **4 de mayo en Albuquerque, NM**. Obtenga toda la información sobre estos talleres educativos de inmersión en 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.

Jett Foundation Family Workshops: Catabasis asistirá a los talleres realizados en **Atlanta, GA** el **6 de abril** y en **Seattle, Washington** el **18 de mayo**. Obtenga toda la información sobre el programa de educación nacional de Jett Foundation en www.jettfoundation.org/familyworkshops.

MDA Clinical and Scientific Conference: a Catabasis le entusiasma asistir del **13 al 17 de abril en Orlando, FL**. Obtenga más información en mda.org/conferences/2019-clinical-and-scientific-conference.

PPMD End Duchenne Tour: Catabasis estará en el recorrido en **Portland, ME** el **27 de abril**. Para obtener información sobre la iniciativa de PPMD de llegar a cada una de las familias que se enfrentan a un diagnóstico de Duchenne en los EE. UU., visite www.parentprojectmd.org/get-involved/attend-events/end-duchenne-tour.

¡Manténgase en contacto!

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

Síganos en las redes sociales: @CatabasisPharma.

Haga una pregunta sobre el ensayo: 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.



POLARIS DMD