

# Ensayos Clínicos

## Ensayos Clínicos para pacientes con síndrome de Alport.

### Un estudio prospectivo de la microalbuminuria en niños no tratados con síndrome de Alport

**Patrocinador:** University of Minnesota  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Julio del 2012

El objetivo del estudio de la microalbuminuria en niños no tratados con síndrome de Alport es recopilar información sobre puntos críticos, como cuando los pacientes con pequeñas cantidades de proteínas (microalbuminuria) progresan a mayores cantidades (proteinuria). Grandes cantidades de proteína en la orina es a menudo un signo de enfermedad renal severa.

La información debe ser recogida en los niños que no están tomando medicamentos conocidos como inhibidores de la enzima convertidora de la angiotensina (IECA) o un bloqueador del receptor de angiotensina (ARA II) con el fin de obtener datos precisos sobre la duración de tiempo entre la aparición de microalbuminuria y el inicio de la proteinuria franca.

## Ensayos Clínicos para pacientes con Esclerosis Tuberosa.

### Ensayo de RAD001 para neurocognición para pacientes con esclerosis tuberosa

**Patrocinador:** Children's Hospital Boston  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Junio del 2013

Ensayo aleatorizado doble ciego de fase 2. El objetivo del ensayo es identificar los posibles beneficios del tratamiento neurocognitivo con RAD001. También puede haber posibilidades de mejoras en la frecuencia de las crisis, el sueño y conductas autistas.

### La rapamicina tópica para aliviar manifestaciones cutáneas de la esclerosis tuberosa y la neurofibromatosis

**Patrocinador:** University of Texas Health Science Center, Houston  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Junio del 2011

El objetivo principal del estudio es evaluar la seguridad del producto en pacientes con esclerosis tuberosa y la NF1. El objetivo secundario es evaluar la eficacia del producto tópico para el tratamiento de las lesiones cutáneas.

### Seguimiento a largo plazo de la terapia para angiomiolipomas RAD001 en pacientes con Esclerosis Tuberosa y linfangioleiomiomatosis esporádicos

**Patrocinador:** Children's Hospital Medical Center, Cincinnati  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Junio del 2014

Estudio de seguimiento a largo plazo abierto a los pacientes que fueron previamente inscritos en "Terapia Angiomiolipomas RAD001" y que cumplan los criterios para este plazo de tiempo de seguimiento.

### El tratamiento de la epilepsia en pacientes con esclerosis tuberosa

**Patrocinador:** Children's Hospital Medical Center, Cincinnati  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Marzo del 2015

El objetivo de este estudio es conocer si con el fármaco RAD001 se puede reducir el número de ataques epilépticos, y puede ser tomados con seguridad por las personas con Esclerosis Tuberosa.

### La rapamicina en angiomyolipomas en pacientes con esclerosis tuberosa

**Patrocinador:** Fundació Puigvert  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Mayo del 2011

El propósito de este estudio es determinar si la rapamicina es segura y eficaz en el tratamiento de angiomiolipomas en pacientes con esclerosis tuberosa.

## Ensayos Clínicos para pacientes con Poliquistosis Renal

### Proyecto HALT

**Patrocinador:** University of Pittsburgh Medical Center  
**Estudio en Fase III.**  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Abril del 2013

El propósito de este estudio es evaluar la efectividad de los fármacos telmisartan (ARAI) y lisinopril (IECA) en la progresión de la Poliquistosis Renal y sus complicaciones cardiovasculares en dos diferentes niveles de función renal, GFR (Ratio de la Filtración Glomerular) menor que 60 ml/min/1.73m<sup>2</sup> y GFR entre 25-60 ml/min/1.73m<sup>2</sup>. IECA (inhibidores del enzima de conversión de la angiotensina) solos o en combinación con ARAII (bloqueante del receptor de angiotensina) serán evaluados monitorizando los tamaños de los riñones y quistes mediante Resonancia Magnética.

### Tolvaptan Tempo 3/4 Trial

**Patrocinador:** Otsuka Pharmaceutical Development & Commercialization, Inc.  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Mayo del 2012

El principal objetivo de este estudio en Fase III es evaluar durante un amplio periodo de tiempo la eficacia y seguridad del Tolvaptan en la Poliquistosis Renal, monitorizando el volumen total del riñón mediante Resonancia Magnética (MRI) y tomando el computo de los marcadores clínicos de la progresión de la Poliquistosis Renal en pacientes viviendo en América, Asia y Europa.

Tolvaptan es potencialmente eficaz tanto para la forma Autosómica Dominante, como para la forma Autosómica Recesiva pero el estudio se hace en la forma dominante.

### Somatostatina

**Patrocinador:** Mario Negri Institute for Pharmacological Research, Bergamo, Italy  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Diciembre del 2011

El objetivo de este estudio en Fase III es comparar los efectos en la progresión de la enfermedad en un tratamiento durante 3 años suministrando somatostatina o placebo en pacientes con función renal normal o moderada insuficiencia renal. Al año y a los 3 años se compararan el volumen total de los riñones entre ambos grupos (somatostatina y placebo).

### Octreotide LAR (Somastotatina)

**Patrocinador:** Mayo Clinic; Novartis  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Junio del 2012

Este estudio en Fase II/III evaluará el efecto de Octreotide LAR en el volumen del hígado en pacientes con severa poliquistosis hepática que no son candidatos a tratamientos quirúrgicos, tales como trasplante hepático o resección hepática. Evidencias preliminares indican que este fármaco es seguro y no tóxico en otras enfermedades. El tratamiento con este fármaco puede ser beneficioso no únicamente para pacientes con poliquistosis hepática sino también para poliquistosis renal.

### Terapia con estatinas en Niños y Adultos Jóvenes

**Patrocinador:** University of Colorado Denver Health Sciences Center.  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Abril del 2011

El propósito de este ensayo clínico en Fase III es determinar el efecto de la Pravastatina en la función renal y cardiovascular durante un periodo de tratamiento de 3 años en niños y adultos jóvenes de entre 8 y 21 años con Poliquistosis Renal. Los resultados de este estudio podrían marcar una línea de tratamiento estándar para la población con Poliquistosis Renal.

### CRISP II

**Patrocinador:** University of Pittsburg

Es la continuación del estudio original CRISP, ahora llamado CRISP II, seguirá con el mismo grupo para un periodo adicional de 4 años para estudiar la relación entre el tamaño de los riñones y la progresión de la enfermedad.

### Bosutinib

**Patrocinador:** Pfizer  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Diciembre del 2017

Ensayo clínico en fase II, estudia determinar si Bosutinib reduce la progresión del incremento del tamaño renal en afectados por poliquistosis renal, cuyo volumen total renal sea mayor a 750cc y un GFR mayor o igual a 60 ml/min/1.73m<sup>2</sup>.

### Triptolide Woldifi

**Patrocinador:** Nanjing University School of Medicine, China  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Junio del 2011

Estudio en fase II cuyo objetivo es evaluar la efectividad de Trptolide Woldifi para ralentizar la progresión en la poliquistosis renal.

## Ensayos Clínicos para pacientes con síndrome de Hemolítico Uremico Atípico.

### Ecuzumab en pacientes pediátricos con síndrome Hemolítico Uremico Atípico

**Patrocinador:** Alexion Pharmaceuticals  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Julio del 2012

El objetivo principal es evaluar la eficacia y seguridad de ecuzumab en pacientes pediátricos para controlar TMA caracterizada por trombocitopenia, hemólisis e insuficiencia renal.

### Ecuzumab en pacientes adultos con síndrome Hemolítico Uremico Atípico

**Patrocinador:** Alexion Pharmaceuticals  
**Fecha estimada de finalización del estudio:** Julio del 2012

El objetivo principal es evaluar la eficacia y seguridad de ecuzumab en pacientes adultos para controlar TMA (Thrombotic Microangiopathy) caracterizada por trombocitopenia, hemólisis e insuficiencia renal.