

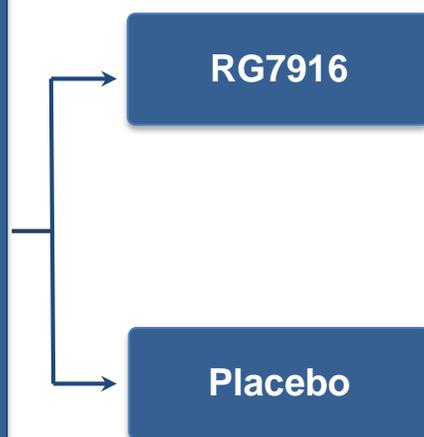


**BP39055:** “Estudo em duas partes contínuas, multicêntrico, randomizado, controlado por placebo, duplo-cego para investigar a segurança, tolerância, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia de **RO7034067** em pacientes que apresentam **atrofia muscular espinhal tipo 2 e 3**”.

## DESENHO

### Principais Critérios de Elegibilidade:

- Idade: de 2 a 25 anos, inclusive (na triagem).
- Para a Parte 1: AME tipo 2 ou 3 ambulantes ou não ambulantes.
- Para a Parte 2: AME tipo 2 ou AME tipo 3 não ambulante.
- Diagnóstico confirmado de AME autossômica recessiva 5q, incluindo:
  - Parte 2 do estudo – para pacientes não ambulantes:
  - Item de entrada RULM (revised upper limb module) A (pontuação de Brooke)  $\geq 2$ .
  - Capacidade de se sentar independentemente avaliada pelo item 9 da medida de função motora (MFM).
  - Teste sérico de gravidez negativo na triagem e concordância para cumprir com medidas para prevenir a gravidez e restrições na doação de esperma



## Objetivo Primário

- Avaliar a alteração a partir do período basal na pontuação total da medida da função motora (MFM) aos 12 meses