



BP39056: “Estudo aberto, multicêntrico, de duas partes contínuas para investigar a segurança, tolerância, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia de **RO7034067** em bebês com **atrofia muscular espinhal tipo 1**”.

DESENHO

Principais Critérios de Elegibilidade:

- Histórico clínico, sinais ou sintomas atribuíveis à AME tipo 1, com início após a idade de 28 dias, mas antes dos 3 meses.
- Idade gestacional de 37 a 42 semanas.
- Diagnóstico confirmado de AME recessiva autossômica 5q.
- Duas cópias do gene SMN2, confirmado por teste central.
- Peso corporal \geq 3° percentil para idade, utilizando as diretrizes específicas do país.
- Nutrição e hidratação adequadas (com ou sem gastrostomia) no momento da triagem, na opinião do investigador.
- Recuperado adequadamente de qualquer doença aguda no momento da triagem e considerado bem o suficiente para participar, na opinião do investigador.

RG7916

Objetivo Primário

- Avaliar a proporção de bebês que sentam sem suporte após 12 meses de tratamento, conforme medida na Escala Motora Grossa das Escalas Bayley do desenvolvimento infantil – Terceira Edição (BSID-III) (definido como sentar sem suporte por 5 segundos).