

¿Quién puede participar?

El ensayo está abierto para personas que:

- tengan entre 18 y 45 años (dependiendo de la región donde usted participe) en el momento de la selección;
- tengan un diagnóstico confirmado de **la enfermedad de Gaucher tipo 1 (EG tipo 1)** basado en el genotipado, actividad deficiente de la enzima glucocerebrosidasa (GBA) y características clínicas consistentes con EG tipo 1; y
- hayan recibido terapia de reemplazo enzimático estable (ERT) durante un mínimo de 24 meses, O nunca hayan recibido ERT o terapia de reducción de sustrato (SRT) o no hayan recibido ERT o SRT en los últimos 12 meses.

Estos no son todos los requisitos de elegibilidad para GuardOne. Llame al **1-877-330-5214** o visite ClinicalTrials.gov (identificador del estudio: [NCT04145037](https://ClinicalTrials.gov/ct2/show/study/NCT04145037)) para obtener una lista completa de los criterios de elegibilidad e información adicional.

GuardOne está diseñado para evaluar la eficacia y la seguridad de AVR-RD-02, una terapia génica en investigación, en individuos con EG tipo 1.

Diseño del estudio

68 semanas (1 año y 4 meses)

| Selección (hasta 8 semanas) | Valor de referencia (1 a 3 días) | Etapa preterapia génica (6 a 8 semanas) | Infusión de terapia génica (1 día) | Seguimiento (52 semanas) |
|---|---|---|--|--|
| Los interesados reciben información sobre los posibles riesgos y beneficios de su participación, lo que también se conoce como proceso de consentimiento informado. Deberán realizar actividades para confirmar su elegibilidad, como un examen físico, proporcionar sus antecedentes personales, así como someterse a análisis de sangre y pruebas médicas por imágenes. | Si se confirma que cumple con los requisitos mediante los procedimientos y las pruebas de selección, los investigadores realizan pruebas para establecer el valor de referencia antes de la terapia génica. | Se prepara a los participantes para la terapia génica mediante la movilización, la aféresis y el acondicionamiento. <ul style="list-style-type: none"> • La movilización ayuda a la médula ósea a liberar células madre en el torrente sanguíneo donde se pueden seleccionar por medio de un proceso llamado aféresis. • El acondicionamiento prepara el cuerpo para recibir la terapia génica después de que las células madre movilizadas y seleccionadas se hayan modificado genéticamente a través del proceso de producción. | Los participantes reciben la terapia génica (AVR- RD-02) a través de una sola infusión intravenosa (IV). | Evaluaciones periódicas de seguridad y eficacia en el transcurso de 52 semanas con hasta 17 visitas. |

Objetivos principales

Evaluar:

- La seguridad y tolerabilidad de AVR-RD-02, incluyendo:
 - Reacciones adversas y reacciones adversas graves, laboratorios clínicos, ECG, signos vitales, anticuerpos, lentivirus con capacidad de replicación, análisis del sitio de inserción.
- El efecto de AVR-RD-02 en:
 - Marcadores clínicos de EG tipo 1 que incluyen bazo, hígado, recuentos sanguíneos y densidad mineral ósea
 - Biomarcadores de EG tipo 1 que incluyen médula ósea y sangre

Objetivos secundarios y exploratorios

Evaluar el efecto de AVR-RD-02 en las medidas clínicas de la enfermedad de Gaucher, que incluyen:

- los niveles de actividad enzimática de GBA en sangre.
- el dolor y la calidad de vida del paciente.

Acerca de AVR-RD-02

AVR-RD-02 es una terapia génica en investigación que se está desarrollando para tratar pacientes con EG tipo 1. AVR-RD-02 aún se encuentra en fase de investigación, lo que significa que no se ha demostrado su seguridad y eficacia, ni está aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de los Estados Unidos ni por ninguna otra agencia regulatoria. Los pacientes deben explorar todas las opciones de tratamiento con su proveedor de atención médica, incluso la posible participación en ensayos clínicos.



Para obtener más información sobre AVR-RD-02 y el ensayo clínico de GuardOne, **visite [AVROBIOGaucherTrial.com](https://www.avrobio.com/GaucherTrial.com)** o **llame al 1800-853-166.**