

ALPORT SYNDROME

EFFICACY & SAFETY TRIAL-1

Alpestría-1



VONAFEXOR es un fármaco en fase

de investigación ya probado en
nueve estudios en pacientes con
otras enfermedades



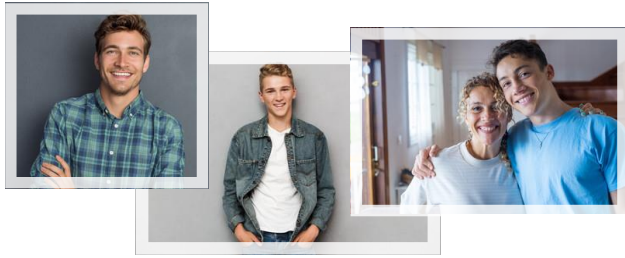
1x/día

Designación
de medicamento
huérfano para
el síndrome de Alport

El objetivo de **ENYO** PHARMA es

preservar la función renal y revertir el daño renal
en **pacientes con síndrome de Alport**

Elegibilidad del participante



Los criterios de inclusión del estudio son :

- 16*-55 años, mujer u hombre
- Historial del diagnóstico y pruebas genéticas en síndrome de Alport
- Pérdida de función renal de leve a moderada
- Aumento de la albuminuria
- Se permite el tratamiento con IECA, ARA o ISGLT2**

ALPESTRÍA-1

○ Este estudio de fase 2 evalúa:

1. la **seguridad** de Vonafexor en el síndrome de Alport
2. el **beneficio de tres niveles de dosis de Vonafexor** sobre la función renal y los biomarcadores.

○ El objetivo del estudio es reclutar a **20 pacientes** la UE (España, Francia y Alemania) y en EE.UU.

○ **Todos los participantes** recibirán Vonafexor **en comprimidos orales una vez al día** durante 24 semanas y, a continuación, interrumpirán el tratamiento durante 12 semanas (el período de seguimiento). Sin placebo : todos los sujetos recibirán el fármaco del estudio.

○ Las evaluaciones son una mezcla de **5 visitas en el centro de estudio obligatorias, 4 visitas domiciliarias y/o en el centro de estudio** y **4 llamadas telefónicas**, con toma de muestras de orina y/o sangre.



4 semanas

Paciente
selecciona
do

24 semanas

3 período de tratamiento

25 mg 50 mg 100 mg Vonafexor

12 semanas

Periodo de seguimiento
sin tratamiento

* 16 años en EE.UU.; 18 años en países de la UE

** IECA: Inhibidor de la enzima convertidora de angiotensina

ARA: Antagonista de los receptores de angiotensina II

ISGLT2: inhibidor del cotransportador
sodio-glucosa tipo 2



Para mayor
información, visitar :

En UE: <https://euclinicaltrials.eu> con la siguiente
referencia 2023-509638-20-00

En EE.UU: <https://clinicaltrials.gov> NCT06425055
y <https://enyopharma.com> o <https://alportsyndrome.org>

ENYO
PHARMA

www.enyopharma.com

Bioserra 1 - Bâtiment B
60 avenue Rockefeller
69008 Lyon, FRANCE