

Convite

Tratamento de crianças com Vanishing White Matter (VWM)

Exmo(a) Sr(a),

Gostaríamos de lhe perguntar se aceita receber informação sobre um ensaio clínico para uma doença cujo nome oficial é “Vanishing White Matter”, abreviadamente “VWM”. Fazemos-lhe esta pergunta porque tem uma criança ou é um(a) representante legal de uma criança com VWM.

VWM é uma doença cerebral severa que afeta sobretudo crianças, especialmente crianças jovens. Na maioria dos casos, a doença começa antes dos 4 anos de idade. As crianças afetadas tornam-se progressivamente incapacitadas, dependentes de cadeira-de-rodas, e morrem passados vários anos. Não existe tratamento disponível. Somente conseguimos acompanhar os pacientes e proporcionar tratamento sintomático.

Dedicamo-nos a investigar melhores opções de tratamento para VWM. Guanabenz é um medicamento antigo e bem-conhecido, aprovado pela FDA (FDA = Agência Americana de Medicamentos) para o tratamento de hipertensão. Tendo em consideração o mecanismo de ação do Guanabenz, pensamos que poderá ser benéfico em VWM. Temos ratinhos de laboratório com VWM. Resultados preliminares indicam que tratamento prolongado em dose elevada com Guanabenz melhora a VWM nestes ratinhos e conduz a uma melhoria clínica e também a nível da patologia cerebral. Contudo, ratinhos são diferentes de humanos e o efeito de Guanabenz em humanos com VWM ainda tem que ser investigado.

Como o Guanabenz tem sido usado há vários anos por adultos para o tratamento de hipertensão sanguínea e provou ser seguro nesta população de pacientes, e a investigação também apoia o uso seguro de Guanabenz em adolescentes com hipertensão, queremos tratar crianças com VWM com Guanabenz.

Este estudo é designado para crianças jovens, nas quais a doença é mais frequente. Crianças jovens com VWM têm uma progressão mais rápida da doença, em comparação com crianças mais velhas e adultos; como tal, a investigação em crianças mais jovens mais rapidamente conseguirá clarificar se o Guanabenz ajuda ou não. A duração do estudo clínico será de pelo menos 1 ano, mas poderá ser prolongada até 4 anos, dependendo de quão rapidamente se atingir o número planeado de 30 pacientes inscritos no estudo. Tratamos pacientes em fases iniciais da doença, antes do cérebro ter sofrido danos extensos e irreversíveis. Como este vai ser o primeiro estudo acerca do uso de Guanabenz em crianças jovens, a segurança do Guanabenz será cuidadosamente monitorizada ao longo do ensaio. Ainda não se sabe exatamente qual a dose tolerada por crianças jovens, e como tal a titulação da dose terá lugar sob supervisão intensiva. Como não há biomarcadores conhecidos em fluidos corporais para a VWM que permitam monitorizar a doença, também usaremos o estudo para pesquisar biomarcadores adequados.

Para ser elegível para participar, o início da doença no paciente terá que ter ocorrido antes dos 6 anos de idade, e duração máxima da doença do paciente deve ser de 8 anos. O paciente deverá ser ainda capaz de se levantar e de andar sem ou com algum apoio. O diagnóstico de

VWM deverá ter sido confirmado por um teste de DNA e por ressonância magnética. O paciente não pode sofrer de outra doença grave, não pode estar a participar noutra estudo medico-científico, e deverá poder fazer ressonância magnética (ou seja, não ter implantes contendo metais, tais como implante coclear, neuro-estimulador ou marcapasso (pacemaker)).

Se aceita receber mais informação sobre o estudo, por favor informe-nos e enviaremos mais pormenores. Consegue contactar-nos mais facilmente por e-mail:

TreatVWM@amsterdamumc.nl.

Prof. Dr. M.S. van der Knaap, neurologista pediátrica do Amsterdam UMC, investigadora principal

Dr. N.I. Wolf, neurologista pediátrica do Amsterdam UMC, investigadora

Dr. R.J. Verbeek, neurologista pediátrica do Amsterdam UMC, investigadora