

ИССЛЕДОВАНИЕ 041

КЛИНИЧЕСКОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ АТАЛУРЕНА В ЛЕЧЕНИИ БОЛЕЗНИ ДЮШЕННА

Исследование 041 представляет собой новое клиническое испытание для мальчиков и молодых мужчин с нонсенс-мутацией при мышечной дистрофии Дюшенна (нмМДД).

Кто может принять участие в исследовании 041?

Для обеспечения наибольшей пользы и безопасности для участников исследования 041 приняты строгие критерии в отношении того, кто может участвовать в исследовании. Ваш врач поможет решить, можете ли Вы/ Ваш ребенок принять участие.

Основные критерии включения

- Документация, подтверждающая, что Вы прошли генетическое исследование, в соответствии с которым у Вас/Вашего ребенка есть нмМДД.
- Вы/Ваш ребенок мужского пола и в возрасте от 5 лет или старше.
- Вы/Ваш ребенок можете самостоятельно пройти расстояние не менее 150 метров во время шестиминутного теста ходьбы.
- Вы/Ваш ребенок можете пройти определенные тесты на скорость.
- Ваша болезнь/болезнь Вашего ребенка имела стабильное течение при лечении кортикостероидами (например, преднизолоном, преднизолоном или дефлазакортом) в течение по крайней мере 12 месяцев непосредственно перед началом исследования, без значительного изменения дозы в течение трех месяцев до начала исследования (не считая изменение дозы в соответствии с массой тела).

Дизайн исследования



На первом этапе исследования 041 будет изучаться влияние исследуемого лечения Аталуреном на способность ходить и на выносливость у мальчиков в возрасте пяти лет и старше, страдающих нмМДД, по сравнению с плацебо (вещество, которое по внешнему виду и вкусу не отличается от Аталурена, но не содержит лекарственного вещества). В исследовании также будет рассматриваться способность участников ходить вверх и вниз по лестнице, ходить/бегать на определенные расстояния, пользоваться верхними конечностями и будет измеряться функция легких. Кроме того, будет выполнена оценка безопасности Аталурена.

На втором этапе исследования 041 будут сравниваться результаты, которых достигли участники, принимавшие Аталурен с самого начала исследования, и участники, начавшие принимать Аталурен на втором этапе. Все испытуемые будут участвовать в первом и втором этапе исследования.

Если Вы/Ваш ребенок решите принять участие в исследовании 041, Вы сможете лучше понять нмМДД, а также текущие и будущие методы лечения, которые в последующем могут принести пользу пациентам с нмМДД.

ЧАСТО ЗАДАВАЕМЫЕ ВОПРОСЫ

Что представляет собой Аталурен?

Аталурен — это экспериментальный препарат, изучаемый для лечения людей с болезнью Дюшенна в возрасте от 5 лет и старше, которые все еще могут ходить. Препарат принимается перорально три раза в день с жидкой или полутвердой пищей. В организме лиц с болезнью Дюшенна не вырабатывается белок дистрофин, который помогает сохранять здоровье мышц. Без дистрофина мышцы со временем ослабевают. Компания «ПТС» изучает препарат Аталурен, чтобы определить, помогает ли он организму вырабатывать дистрофин, что может замедлить ослабление мышц.

Безопасен ли Аталурен?

Аталурен изучался в клинических испытаниях с участием более 1000 человек. Во время этих клинических испытаний было установлено, что Аталурен хорошо переносится пациентами с болезнью Дюшенна и имеет благоприятный профиль безопасности при таком тяжелом заболевании.

Нужно ли платить за участие в исследовании?

Нет. Все расходы, связанные с исследованием, включая медицинский осмотр, процедуры скрининга, лабораторные и другие анализы, а также стоимость препарата, будут покрыты компанией «ПТС Терапевтикс», которая финансирует исследование 041.

Вам будут возмещены все разумные* расходы на проезд, питание и проживание, необходимые при визитах в клинику исследовательского центра, которые будут проводиться примерно каждые 12 недель на первом этапе и каждые 24 недели на втором этапе исследования.

Как Аталурен повлияет на другое лечение, которое я принимаю?

Если Вы/Ваш ребенок принимаете какие-либо препараты, врач сообщит Вам о потенциальных проблемах, которые могут возникнуть в этой связи, и обсудит с Вами варианты лечения. Тем не менее, для участия в исследовании Вы/Ваш ребенок должны принимать препараты, которые называются кортикостероидами, а Аталурен можно принимать вместе с этими лекарствами.

Что произойдет, если/когда Аталурен будет зарегистрирован в моей стране? Могу ли я выйти из исследования?

После включения участника в исследование 041 мы хотели бы, чтобы он выполнял свои обязательства по исследованию, если только врач не решит, что участнику следует прекратить участие по состоянию здоровья или по соображениям безопасности. Тем не менее, участие в этом исследовании является полностью добровольным, и при желании Вы/Ваш ребенок можете выйти из исследования в любое время и по любой причине или без всякой причины.

Что мне нужно сделать, чтобы меня включили в исследование 041?

Если Вы/Ваш ребенок хотите участвовать в исследовании, то прежде чем Вас включат в него, Вам/Вашему ребенку необходимо будет обсудить исследование со своим врачом и дать согласие на участие. Существуют две формы согласия. Первая форма содержит подробную информацию, в которой указаны риски и польза участия в исследовании. Если у Вас/Вашего ребенка возникнут какие-либо вопросы по поводу этой информации, необходимо будет обсудить их с врачом, так как важно, чтобы Вы были полностью проинформированы. Вторая форма согласия объясняет основные факты

об исследовании на языке, соответствующем возрасту. После того как Вы/Ваш ребенок подпишете эти формы, Вам выдадут их экземпляры, которые останутся у Вас.

Далее необходимо будет пройти некоторые проверки, которые позволят убедиться, что Вы/Ваш ребенок соответствуете критериям участия в исследовании. Эти проверки, которые называются процедурами скрининга, будут включать в себя тесты, позволяющие оценить Вашу способность/способность Вашего ребенка пробежать/пройти 10 метров, подняться на четыре ступеньки спуститься на четыре ступеньки и встать из положения лежа на спине за 30 секунд. Эти проверки будут проводиться за две недели до начала исследования для Вас/Вашего ребенка. На исходном уровне или в начале исследования будет проводиться анализ определения генотипа, позволяющий убедиться, что у Вас/Вашего ребенка есть нонсенс-мутация гена дистрофина.

Что мне нужно будет делать во время исследования 041?

Если Вы/Ваш ребенок будете включены в исследование, Вас случайным образом распределят либо в группу Аталурена, либо в группу плацебо.

Аталурен или плацебо принимаются перорально (внутри). Каждый день в течение всего исследования Вам/Вашему ребенку нужно будет готовить и принимать лекарство или плацебо три раза в день: утром, днем и вечером.

В идеале между утренней и дневной дозой должно пройти около 6 часов, между дневной и вечерней дозой — около 6 часов, а между вечерней дозой и первой дозой следующего дня — около 12 часов.

* Возмещаемые затраты имеют некоторые ограничения, о которых Вам расскажут при посещении клиники.

Для получения дополнительной информации обращайтесь по

электронной почте: patientinfo@ptcbio.com

бесплатной телефонной линии: +1 (866) 282-5873

