

Sarepta prevede di avere centri dello studio nei
seguenti Paesi:

Stati Uniti
Belgio
Canada
Repubblica Ceca
Francia
Germania
Italia
Israele
Spagna
Svezia
Regno Unito

Visiti il sito www.clinicaltrials.gov e cerchi NCT02500381
per un elenco dei centri che attualmente stanno arruolando pazienti.

**Per maggiori informazioni,
visiti il sito
www.EssenceTrial.com**

Visiti il sito www.sarepta.com per aggiornamenti sugli
studi clinici di Sarepta



4045-301

SPERIMENTAZIONE CLINICA

ESSENCE

**Per pazienti affetti da
distrofia muscolare di Duchenne
(DMD) con mutazioni di delezione
susceptibili allo skipping dell'esone
45 o dell'esone 53**

**Sul retro di questo opuscolo è possibile
trovare informazioni sulle sedi dei centri e le
informazioni di contatto
per Sarepta Therapeutics, Inc. (Sarepta)**

Lo studio ESSENCE

L'obiettivo di questo studio di ricerca di fase III è valutare la sicurezza e l'efficacia di SRP-4045 e SRP-4053, farmaci sperimentali di Sarepta per lo skipping dell'esone 45 e dell'esone 53

Chi può partecipare allo studio ESSENCE?

- Ragazzi con DMD, di età compresa tra 7 e 13 anni e in grado di camminare
- Test genetico che dimostri la presenza di una delezione che potrebbe essere trattata mediante skipping dell'esone 45 o 53*. Ne discuta con il Suo medico se non è sicuro/a.
- Precedente trattamento con una dose stabile di corticosteroidi (es. prednisone o deflazacort) della durata di almeno 6 mesi
- Funzionalità polmonare (respirazione) e cardiaca stabile

Vi sono requisiti aggiuntivi necessari per la partecipazione che saranno esaminati con i pazienti e con le rispettive famiglie durante il processo di screening.

Dove sono situati i centri dello studio?

Prevediamo di avere centri dello studio in città distribuite in tutti gli Stati Uniti oltre che nei Paesi elencati sul retro del presente opuscolo. Visiti il sito www.clinicaltrials.gov e cerchi NCT02500381 per un elenco dei centri che attualmente stanno arruolando pazienti. Può trovare il centro dello studio attivo più vicino su EssenceTrial.com

Perché dovrei valutare una partecipazione a questo studio?

I potenziali benefici di SRP-4045 e SRP-4053 nei pazienti affetti da DMD non sono noti. Anche se Suo figlio non trae beneficio da questo studio, potremmo acquisire informazioni che potrebbero contribuire al progresso della ricerca ed essere di aiuto ad altre persone.

Quali sono i rischi associati a questo studio?

Come con tutti gli studi di ricerca, possono esservi dei rischi associati ai possibili effetti collaterali dovuti all'assunzione del farmaco dello studio e agli esami medici eseguiti nell'ambito dello studio. Le informazioni sui possibili rischi a cui potrebbe essere esposto Suo figlio nell'ambito dello studio sono disponibili nel modulo di consenso e devono essere discusse con il Suo medico dello studio.

* Le delezioni suscettibili allo skipping dell'esone 45 comprendono, a titolo esplicativo ma non esaustivo, delezioni degli esoni 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53 o 46-55.
Le delezioni suscettibili allo skipping dell'esone 53 comprendono, a titolo esplicativo ma non esaustivo, delezioni degli esoni 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52, o 54-58.

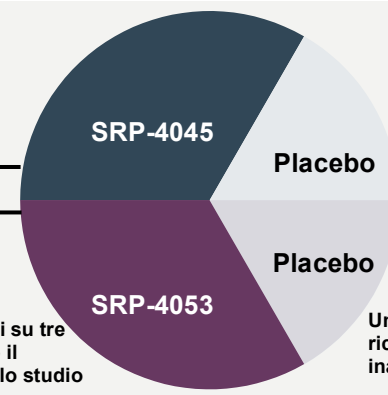
SRP-4045

Pazienti affetti da DMD con delezioni potenzialmente responsive o suscettibili allo skipping dell'esone 45

SRP-4053

Pazienti affetti da DMD con delezioni potenzialmente suscettibili allo skipping dell'esone 53

Due pazienti su tre riceveranno il farmaco dello studio attivo



Placebo

I pazienti vengono assegnati casualmente a ricevere il farmaco dello studio attivo o il placebo inattivo

Un paziente su tre riceverà il placebo inattivo

Che cos'è uno studio randomizzato controllato con placebo e perché Sarepta ne sta conducendo uno?

Randomizzato, controllato con placebo significa che ciascun partecipante allo studio verrà scelto in maniera casuale, a sorte (come nel lancio di una moneta) per ricevere il farmaco dello studio attivo (SRP-4045 o SRP-4053, a seconda del tipo di delezione del partecipante) o il "placebo". Il placebo è fatto in maniera tale da avere un aspetto simile al farmaco dello studio, senza però contenere alcun farmaco attivo. Se Suo figlio partecipa a questo studio, avrà 2 possibilità su 3 di ricevere il farmaco dello studio e 1 possibilità su 3 di ricevere il placebo.

I ricercatori utilizzano un placebo per capire se il farmaco dello studio funziona e valutarne la sicurezza rispetto al non assumere alcun farmaco. Un disegno sperimentale controllato con placebo è il tipo più comunemente usato per le sperimentazioni cliniche di fase III che vengono condotte per ottenere l'approvazione di farmaci da agenzie come l'Ente statunitense preposto alla tutela di alimenti e medicinali (Food and Drug Administration, FDA) e l'Agenzia europea per i medicinali (European Medicines Agency, EMA).

I pazienti che completano la parte dello studio controllata con placebo della durata di 2 anni saranno idonei a partecipare al periodo di estensione in aperto di 2 anni. In aperto significa che tutti i pazienti riceveranno il farmaco dello studio attivo e che Lei e il personale dello studio saprete cosa sta ricevendo Suo figlio.

Che cosa comporta la partecipazione a questo studio?

- Sono previste visite settimanali presso il centro dello studio più vicino a Lei, in occasione delle quali Suo figlio riceverà un'infusione del farmaco dello studio attivo o del placebo (in base al gruppo di trattamento al quale viene assegnato Suo figlio e alla parte dello studio in cui si trova). Suo figlio sarà sottoposto a periodici prelievi di sangue e a una serie di esami obiettivi presso il Suo centro locale.
- All'incirca ogni 12 settimane ci saranno valutazioni funzionali che comprendono test della distanza percorsa camminando, altre attività correlate alla capacità deambulante, forza muscolare, respirazione e funzionalità cardiaca. Per l'esecuzione di queste valutazioni funzionali, potrebbe presentarsi la necessità di spostarsi verso un centro diverso dal centro della sperimentazione clinica più vicino a Lei.
- Inoltre, sono previste 2 biopsie muscolari, 1 all'inizio dello studio e 1 dopo circa un anno. A seconda di dove vive, potrebbe essere necessario spostarsi per l'intervento chirurgico della biopsia.
- Il medico dello studio potrà fornirLe ulteriori informazioni su tutti i requisiti e le attività previsti da questo studio di ricerca.

Riceverò un compenso per la partecipazione?

In generale, le spese ragionevoli associate alla partecipazione allo studio saranno sostenute o rimborsate preventivamente da Sarepta in conformità alla politica sui viaggi approvata per le procedure eseguite nell'ambito dello studio. Oltre alle spese di viaggio, ai partecipanti non verrà offerto alcun compenso aggiuntivo. Ulteriori informazioni saranno fornite dal centro dello studio.