

Sarepta planea tener centros del estudio en los siguientes países:

Estados Unidos  
Bélgica  
Canadá  
República Checa  
Francia  
Alemania  
Italia  
Israel  
España  
Suecia  
Reino Unido

Visite [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) y busque NCT02500381 para consultar la lista de centros que actualmente están inscribiendo pacientes.

Para obtener más información,  
visite  
[www.EssenceTrial.com](http://www.EssenceTrial.com)

Visite [www.sarepta.com](http://www.sarepta.com) para conocer las últimas noticias sobre los estudios clínicos de Sarepta.



4045-301  
ENSAYO CLÍNICO

ESSENCE

**Distrofia muscular de Duchenne  
(DMD) con mutaciones de delección  
susceptibles de corrección mediante  
la omisión de los exones 45 y 53**

**Los datos sobre la ubicación de los centros y  
los datos de contacto de Sarepta Therapeutics, Inc.  
(Sarepta) se encuentran en el dorso de este folleto.**

# Estudio ESSENCE

La finalidad de este estudio de investigación en fase III consiste en evaluar la seguridad y efectividad de SRP-4045 y SRP-4053, los fármacos en investigación de Sarepta para la omisión de los exones 45 y 53

## ¿Quién puede participar en el estudio ESSENCE?

- Varones con DMD de 7 a 13 años que puedan caminar.
- Que dispongan de un informe genético que muestre que la delección puede tratarse mediante la omisión de los exones 45 o 53\*. Consulte a su médico si no está seguro.
- Que hayan recibido una dosis estable de corticoesteroides (p. ej., prednisona o deflazacort) durante un mínimo de 6 meses.
- Que cuenten con una función estable de los pulmones (respiración) y del corazón.

Hay otros requisitos de participación que se revisarán con los pacientes y sus familias durante el proceso de selección.

## ¿Dónde están ubicados los centros del estudio?

Planeamos tener centros del estudio en ciudades de los Estados Unidos y de los países que figuran en el dorso de este folleto. Para consultar la lista de centros que están inscribiendo pacientes actualmente, visite [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) y busque NCT02500381. Podrá encontrar el centro del estudio en activo más cercano en [EssenceTrial.com](http://EssenceTrial.com).

## ¿Por qué debería considerar mi participación en este estudio?

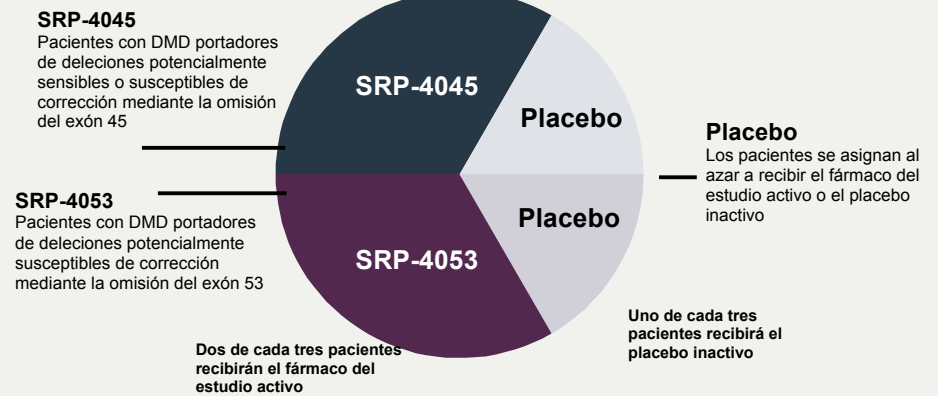
Se desconocen los posibles beneficios de SRP-4045 y de SRP-4053 para los pacientes con DMD. Aunque su hijo no obtenga ningún beneficio de participar en este estudio, quizá podamos obtener información que haga avanzar las investigaciones y ayudar a otros.

## ¿Cuáles son los riesgos asociados a este estudio?

Al igual que todos los estudios de investigación, puede haber riesgos asociados a posibles efectos secundarios producidos por el fármaco del estudio y por las pruebas médicas realizadas como parte del estudio. La información sobre los posibles riesgos a los que tendrá que hacer frente su hijo durante el estudio está disponible en el formulario de consentimiento y deberá hablar sobre la misma con el médico del estudio.

\* Las delecciones susceptibles de corrección mediante la omisión del exón 45 son, entre otras: delecciones de los exones 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53 o 46-55.

Las delecciones susceptibles de corrección mediante la omisión del exón 53 son, entre otras: delecciones de los exones 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52 o 54-58.



## ¿Qué es un estudio aleatorizado y controlado con placebo y por qué Sarepta ha puesto uno en marcha?

Aleatorizado y controlado con placebo significa que el tratamiento de todos los participantes en el estudio se elegirá al azar (como cuando se lanza una moneda a cara o cruz) para que reciban o bien el fármaco del estudio activo (SRP-4045 o SRP-4053, dependiendo del tipo de delección) o bien un "placebo". El placebo tiene la misma apariencia que el fármaco del estudio, pero no contiene ningún fármaco activo. Si su hijo participa en este estudio, tendrá 2 probabilidades de 3 de recibir el fármaco del estudio y 1 probabilidad de 3 de recibir el placebo.

Los investigadores utilizan el placebo para ver si funciona el fármaco del estudio y para observar su seguridad si se compara con no tomar nada. El diseño de ensayo controlado con placebo es el diseño más frecuente utilizado en los ensayos clínicos en fase III para obtener la autorización de fármacos por parte de agencias como la Administración de Medicamentos y Alimentos de los EE. UU. (Food and Drug Administration, FDA) y la Agencia Europea de Medicamentos.

Los pacientes que terminen la parte controlada con placebo de 2 años serán aptos para participar en el periodo de ampliación sin enmascaramiento de 2 años del estudio. "Sin enmascaramiento" significa que todos los pacientes recibirán el fármaco del estudio activo y que tanto usted como el equipo del estudio sabrán que su hijo lo está recibiendo.

## ¿Qué implica la participación en este estudio?

- Visitas semanales al centro del estudio más cercano, en el que su hijo recibirá una infusión del fármaco del estudio activo o del placebo (dependiendo del grupo de tratamiento al que se haya asignado a su hijo y de la parte del estudio en la que esté participando). Su hijo también se someterá a extracciones de sangre y exploraciones físicas periódicas en su centro.
- Aproximadamente cada 12 semanas se realizarán estudios funcionales, como pruebas de la distancia caminada, otras actividades relacionadas con caminar y pruebas de fuerza muscular, así como con la respiración y con el funcionamiento del corazón. Es posible que tenga que trasladarse a otro centro del ensayo clínico distinto del que le queda más cerca para realizar estos estudios funcionales.
- También se realizarán 2 biopsias musculares, una al principio del estudio y otra al cabo de un año aproximadamente. Dependiendo de su lugar de residencia, es posible que tenga que desplazarse para realizar la biopsia.
- Puede obtener más información sobre todos los requisitos y actividades de este estudio de investigación si pregunta al médico del estudio.

## ¿Recibiré alguna compensación por participar?

Por lo general, Sarepta pagará por anticipado o reembolsará un importe razonable de los gastos de acuerdo con la política autorizada de desplazamientos con el objeto de realizar los procedimientos que forman parte del estudio. No habrá más compensaciones para los participantes aparte de los gastos de desplazamiento. El centro del estudio le proporcionará más información.