

Sarepta plant onderzoekscentra in de volgende landen:

Verenigde Staten
België
Canada
Tsjechië
Frankrijk
Duitsland
Italië
Israël
Spanje
Zweden
Verenigd Koninkrijk

Ga naar www.clinicaltrials.gov en zoek naar NCT02500381 voor een lijst van centra die momenteel patiënten registreren.

Voor meer informatie
kunt u terecht op
www.EssenceTrial.com

Ga naar www.sarepta.com voor updates over de klinische studies van Sarepta



4045-301

KLINISCH ONDERZOEK

ESSENCE

Voor patiënten die lijden aan
Duchenne spierdystrofie
(Duchenne muscular dystrophy,
DMD) met deletiemutaties die
vatbaar zijn voor exon 45- of
exon 53-skipping

Informatie over centrumlocaties en
contactgegevens voor Sarepta Therapeutics, Inc.
(Sarepta) kunt u vinden op de achterzijde van deze
brochure

De ESSENCE-studie

Het doel van deze fase III-onderzoeksstudie is om de veiligheid en doeltreffendheid te evalueren van SRP-4045 en SRP-4053, Sarepta's onderzoeksgeneesmiddelen voor exon 45- en exon 53-skippping

Wie kan mogelijk deelnemen aan de ESSENCE-studie?

- Een jongen met DMD van 7 tot 13 jaar oud die kan lopen.
- Een genetische test toont aan dat hij een deletie heeft die te behandelen is door exon 45- of 53-skippping*. Praat met uw arts als u het niet zeker weet.
- Krijgt al minstens 6 maanden een stabiele dosis corticosteroiden (bv. prednison of deflazacort).
- Stabiele long- (ademen) en hartfunctie.

Er zijn nog andere vereisten voor deelname; die worden met de patiënten en hun familie besproken tijdens het screeningsproces.

Waar zijn de onderzoekscentra?

We plannen onderzoekscentra in steden in zowel de Verenigde Staten als in de landen die op de achterzijde van deze brochure staan. Ga voor een lijst van centra die momenteel patiënten registreren naar www.clinicaltrials.gov, en zoek naar NCT02500381. U kunt het dichtstbijzijnde actieve onderzoekscentrum vinden op EssenceTrial.com

Waarom zou ik een deelname aan deze studie moeten overwegen?

De mogelijke voordelen van SRP-4045 en SRP-4053 bij patiënten met DMD zijn niet bekend. Maar zelfs als uw zoon niet beter wordt door mee te doen, kunnen we misschien iets te weten komen dat het onderzoek vooruithelpt en anderen kan helpen.

Welke risico's zijn er verbonden aan deze studie?

Zoals bij alle onderzoeksstudies kunnen er risico's verbonden zijn aan mogelijke bijwerkingen van het studiemiddel en aan de medische testen die in het kader van de studie worden uitgevoerd. Informatie over de mogelijke risico's die uw zoon in deze studie kan lopen, is te vinden in het toestemmingsformulier. U kunt deze bespreken met uw studiearts.

* *Vatbare deleties voor exon 45-skippping zijn onder meer, maar niet uitsluitend, deleties van exon 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53 of 46-55.*

Vatbare deleties voor exon 53-skippping zijn onder meer, maar niet uitsluitend, deleties van exon 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52 of 54-58.

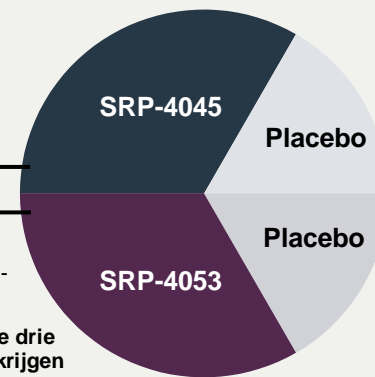
SRP-4045

DMD-patiënten met deleties die mogelijk kunnen reageren op of vatbaar zijn voor exon 45-skippping

SRP-4053

DMD-patiënten met deleties die mogelijk vatbaar zijn voor exon 53-skippping

Twee op de drie patiënten krijgen actief studiemiddel



Placebo

Patiënten worden willekeurig ingedeeld om ofwel actief studiemiddel, ofwel inactieve placebo te krijgen

Eén op de drie patiënten krijgt inactieve placebo

Wat is een gerandomiseerde, placebogecontroleerde studie en waarom verricht Sarepta er een?

Gerandomiseerd, placebogecontroleerd betekent dat elke studiedeelnemer willekeurig, per toeval (zoals bij het opwerpen van een muntstuk) gekozen wordt om ofwel actief studiemiddel (SRP-4045 of SRP-4053, naargelang het type van zijn deletie) of 'placebo' te krijgen. Placebo ziet er net hetzelfde uit als het studiemiddel, maar bevat geen actief geneesmiddel. Als uw zoon aan deze studie deelneemt, heeft hij een kans van 2 op 3 om studiemiddel te krijgen en een kans van 1 op 3 om placebo te krijgen.

Onderzoekers gebruiken een placebo om te zien of het studiemiddel werkt en hoe veilig het is in vergelijking met helemaal niets nemen. Het placebogecontroleerde onderzoeksdesign is het vaakst gebruikte type bij fase III klinische onderzoeken voor het laten goedkeuren van geneesmiddelen door agentschappen zoals de FDA en het Europees Geneesmiddelenbureau.

Patiënten die het 2-jarige placebogecontroleerde deel van de studie voltooien, komen in aanmerking om deel te nemen aan de 2-jarige open-label uitbreidingsperiode. Open-label betekent dat alle patiënten actief studiemiddel krijgen en dat u en het studieteam weten dat uw zoon het krijgt.

Wat houdt deelnemen aan deze studie in?

- Wekelijkse bezoeken aan uw dichtstbijzijnde onderzoekscentrum, waar uw zoon een infusie zal krijgen van werkzaam studiemiddel of placebo (afhankelijk van de behandelingsgroep waaraan uw zoon is toegewezen, en het deel van de studie waarin hij zich bevindt). Periodiek wordt bij uw zoon ook bloed afgenomen en vinden er lichamelijke onderzoeken plaats in uw lokale centrum.
- Ongeveer om de 12 weken vinden er functiebeoordelingen plaats, met onder meer testen van de loopafstand, andere loopactiviteiten, spierkracht, ademhalings- en hartfunctie. Voor deze functiebeoordelingen moet u misschien naar een ander centrum dan uw dichtstbijzijnde klinisch onderzoekscentrum.
- Er vinden ook 2 spierbiopsieën plaats, 1 aan het begin van de studie en 1 na ongeveer één jaar. Afhankelijk van waar u woont, moet u mogelijk reizen voor de biopsie-ingreep.
- De studiearts kan u verder inlichten over alle vereisten en activiteiten in deze onderzoeksstudie.

Word ik vergoed voor mijn deelname?

Redelijke kosten van studiedeelname worden over het algemeen door Sarepta vooruitbetaald of vergoed volgens het goedgekeurde reisbeleid voor de als onderdeel van de studie uitgevoerde procedures. Afgezien van deze reiskosten worden deelnemers niet vergoed. Het onderzoekscentrum zal u verder informatie verschaffen.