

Sarepta planerar att ha studiecenter i följande länder:

USA
Belgien
Kanada
Tjeckien
Frankrike
Tyskland
Italien
Israel
Spanien
Sverige
Storbritannien

Gå in på www.clinicaltrials.gov och sök NCT02500381 för en lista på alla center som rekryterar patienter just nu.

För mer information
kan du besöka
www.EssenceTrial.com

Besök www.sarepta.com för uppdaterad information om Sareptas kliniska studier



4045-301

KLINISK STUDIE

ESSENCE

För patienter med Duchennes
muskeldystrofi (DMD) med
deletionsmutationer mottagliga för
att hoppa över exon 45 eller exon 53

Information om var studiecenter finns och
kontaktinformation till Sarepta Therapeutics, Inc.
(Sarepta) hittar du på baksidan av denna broschyr

ESSENCE-studien

Syftet med denna fas III forskningsstudie är att utvärdera säkerheten och effektiviteten med SRP-4045 och SRP-4053, Sareptas studieläkemedel som hoppar över exon 45 och exon 53

Vem kan delta i ESSENCE-studien?

- En pojke med DMD som är 7 till 13 år och som kan gå
- Har genomgått ett genetiskt test som visar att han har en deletion kan behandlas genom överhoppning av exon 45 eller 53*. Prata med din läkare om du är osäker.
- Har stått på en stabil dos med kortikosteroider (t.ex. prednison eller deflazakort) under minst 6 månader
- Stabil lungfunktion (andning) och hjärtfunktion

Det finns ytterligare krav för att delta och dessa kommer att gås igenom med patienterna och deras familjer under screeningprocessen.

Var ligger studiecentren?

Vi planerar att ha studiecenter över hela USA och även i de länder som listas på baksidan av denna broschyr. För en lista på alla länder som rekryterar patienter just nu, gå in på www.clinicaltrials.gov och sök NCT02500381. Du kan hitta det studiecenter som är aktivt närmast dig på EssenceTrial.com

Varför ska jag överväga att delta i denna studie?

De möjliga fördelarna med SRP-4045 och SRP-4053 hos patienter med DMD är okända. Även om din son inte drar några fördelar av att delta i denna studie så kan vi lära oss något som kan föra forskningen framåt och hjälpa andra.

Vilka risker är förknippade med den här studien?

Precis som med alla forskningsstudier så kan det finnas risker förknippat med möjliga biverkningar i samband med att man tar studieläkemedlet och med de medicinska tester som utförs som en del av studien. Information om de möjliga risker som din son kan utsättas för i den här studien finns tillgängligt i samtyckesformuläret och ni bör diskutera dem med studieläkaren.

* Deletioner som är mottagliga för överhoppning av exon 45 omfattar, men är inte begränsade till, deletioner av exoner 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53 eller 46-55.

Deletioner som är mottagliga för överhoppning av exon 53 omfattar, men är inte begränsade till, deletioner av exoner 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52 eller 54-58.

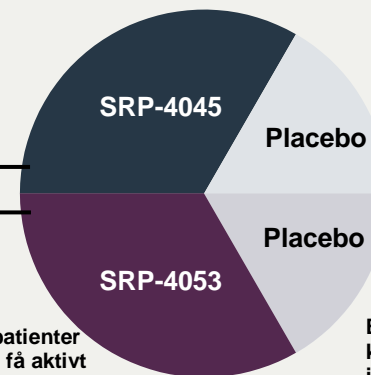
SRP-4045

DMD-patienter med deletioner som potentiellt svarar på, eller är mottagliga för, överhoppning av exon-45

SRP-4053

DMD-patienter med deletioner som är mottagliga för överhoppning av exon-53

Två av tre patienter kommer att få aktivt studieläkemedel



Placebo

Patienter tilldelas slumpmässigt (randomiseras) att få antingen aktivt studieläkemedel eller inaktivt placebo

En av tre patienter kommer att få inaktivt placebo

Vad är en randomiserad placebokontrollerad studie och varför genomför Sarepta en sådan studie?

Randomiserad, placebokontrollerad innebär att varje studiedeltagare väljs ut slumpmässigt (som ett lotteri) att få antingen aktivt studieläkemedel (SRP-4045 eller SRP-4053, beroende på deras deletionstyp) eller "placebo". Placebo är tillverkat för att se ut exakt som studieläkemedlet men innehåller inget läkemedel. Om din son deltar i den här studien så kommer han att ha en chans på 2 av 3 att få studieläkemedel och en chans på 1 av 3 att få placebo.

Forskare använder placebo för att se hur studieläkemedlet fungerar och för att se hur säkert det är jämfört med att inte ta något alls. En placebokontrollerad studie är den utformning som är vanligast använt i kliniska studier i fas III som används för att få ett godkännande för läkemedel från myndigheter som exempelvis det amerikanska läkemedelsverket FDA och den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA.

Patienter som fullföljer den 2 år långa placebokontrollerade delen av studien kommer att vara lämpade för att delta i den 2-åriga öppna förlängningsperioden. "Öppen" innebär att patienter får aktivt studieläkemedel och att både du och studieteamet vet vad din son får.

Vad innebär det att vara med i den här studien?

- Besök varje vecka till närmaste studiecenter. Där kommer din son att få en infusion med aktivt studieläkemedel eller placebo (beroende på vilken behandling som han tilldelats och vilken del av studien som han befinner sig i). Din son kommer också att få ta blodprover med jämna mellanrum och genomgå kroppsundersökningar på det lokala centret.
- Ungefär var tolfte vecka kommer det att ske funktionsbedömningar som omfattar tester av gångsträcka, andra aktiviteter relaterade till gång, muskelstyrka, andning och hjärtfunktion. Du kan behöva resa till ett annat kliniskt studiecenter än det som ligger närmast dig för dessa funktionstester.
- Det sker även 2 muskelbiopsier. En i början av studien och en efter ungefär ett år. Beroende på var du bor så kan det bli nödvändigt att resa för att genomgå biopsin som är ett kirurgiskt ingrepp.
- Du kan få mer information om kraven för och aktiviteterna relaterade till denna forskningsstudie av din studieläkare.

Kommer jag att få någon ersättning för att jag deltar?

I allmänhet så kan rimliga omkostnader som är förknippade med deltagande i studien att betalas ut i förväg eller ersättas i efterhand av Sarepta enligt den godkända resepolycyn för de undersökningar som genomförs som en del av studien. Förutom reseomkostnader så kommer ingen annan ersättning att betalas ut till deltagare. Ytterligare information kan lämnas av studiecentret.