

Klinische Studien:



sind vertraulich. Die Teilnahme an einer klinischen Studie ist vertraulich. Der Name und andere identifizierende Informationen werden in die Berichtsdaten nicht aufgenommen.



sind kostenfrei. Den Teilnehmern werden angemessene Reisekosten, einschließlich Hin- und Rückreise zum bzw. vom Studienzentrum, ein bis zwei Übernachtungen in einem Hotel pro Besuch sowie Verpflegungskosten für den Teilnehmer und eine Begleitperson erstattet. Die medizinische Versorgung im Zusammenhang mit der Studie ist für die Teilnehmer ebenfalls kostenlos.



sind wichtig für die Gemeinschaft. Die Teilnahme an klinischen Studien leistet einen wichtigen Beitrag zur Forschung, wodurch anderen Menschen, die an GNE-Myopathie leiden, geholfen werden kann. Es ist jedoch möglich, dass der Studienteilnehmer keinen klaren Nutzen erhält.



können Risiken bergen. Jede klinische Studie kann mit Risiken verbunden sein, z. B. dem Risiko von Nebenwirkungen durch die Studienbehandlung. Bitte besprechen Sie die spezifischen Risiken im Zusammenhang mit dieser Studie mit Ihrem Studienarzt.

Weitere Informationen erhalten Sie unter
www.clinicaltrials.gov (Suchbegriff NCT02377921).

Kim Mooney
(415) 483-8872
kmooney@ultragenyx.com

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt über genetische Untersuchungen bei GNE-Myopathie:

Besteht bei Ihnen aufgrund Ihrer Symptome der Verdacht auf eine GNE-Myopathie, kann Ihr Arzt einen für Sie kostenlosen Gentest anfordern. Ärzte und Praxismitarbeiter erhalten weitere Informationen unter GNEM@engagehealth.com.

ultragenyx
pharmaceutical

Aktuelles aus der Forschung über GNE-Myopathie für Patienten

Informationen über eine klinische
Forschungsstudie der Phase III zu
GNE-Myopathie, auch bekannt als
vererbte Einschlusskörpermyopathie
(Hereditary Inclusion Body
Myopathy, HIBM)

ultragenyx

Klinische Forschungsstudie der Phase III

Derzeit wird eine klinische Forschungsstudie der Phase III bei Patienten mit GNE-Myopathie in die Wege geleitet. Diese Erkrankung wird auch als vererbte Einschlusskörpermyopathie (HIBM) bzw. Nonaka-Myopathie bezeichnet. Die Studie ist offen für Patienten im Alter von 18–55 Jahren, die mindestens 200 Meter (rund 200 Yards, entspricht etwa der Länge von zwei Fußballfeldern) innerhalb von sechs Minuten zu Fuß gehen können, ohne einen Gehstock, Krücken, einen Rollator oder andere Gehhilfen zu verwenden. Sprunggelenksorthesen sind erlaubt.

Für die Teilnahme müssen weitere Kriterien erfüllt sein. Nicht alle Patienten entsprechen den Vorgaben für die Teilnahme an dieser Studie. Patienten, die Sialinsäure, ManNac, Johanniskraut (oder andere Stoffe, die Sialinsäure im Körper produzieren) einnehmen, werden gebeten, diese Medikamente 60 Tage vor der Voruntersuchung abzusetzen.

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt über weitere Informationen zu dieser globalen Phase-III-Studie.



Weitere Informationen erhalten Sie unter www.clinicaltrials.gov (Suchbegriff NCT02377921).

Was muss ich über die Phase-III-Studie zu verlangsamt freigesetzter Sialinsäure wissen?

- In dieser Phase-III-Studie werden Informationen über die Sicherheit und Wirksamkeit von in Retardform verabreichter (extended release, ER) Sialinsäure bei Patienten mit GNE-Myopathie gesammelt.
- Sialinsäure Retard ist ein Studienmedikament.
- Um an der Studie teilnehmen zu können, sind nach Ihrem ersten Besuch im Studienzentrum weitere ein- bis zweitägige Besuche notwendig. Diese erfolgen im Studienzentrum alle zwei Monate während der 48-wöchigen Studiendauer (insgesamt acht Besuche).
- Die Studie wird mit einer Placebokontrolle durchgeführt, was bedeutet, dass der einen Hälfte der Studienteilnehmer Sialinsäure Retard und der anderen Hälfte ein Placebo (Zuckerpille) verabreicht wird.
- Nach der Studie können alle Teilnehmer möglicherweise an einer Verlängerungsstudie teilnehmen, in der sie Sialinsäure Retard erhalten.
- Angemessene Reisekosten für die Besuche im Studienzentrum werden für akzeptable Entfernungen zurückerstattet.