

מחקרים קליניים:

הינם חסויים. השתתפות במחקר קליני הינה חסויה. שמות המשתתפים ומידע מזהה אחר לא ייחשף בנתוני הדו"ח.



אינם עולים דבר. המשתתפים יקבלו החזר הוצאות אישיות סבירות על נסיעות, כולל נסיעות הלוך ושוב למרכז המחקר, שהות של 1-2 לילות במלון בכל ביקור וארוחות למשתתף ומלווה אחד. המשתתפים יקבלו גם טיפול רפואי הקשור למחקר ללא עלות.



הינם חשובים לקהילה. השתתפות במחקר קליני תורמת למדע ויכולה להועיל לאחרים הסובלים ממיופתיה מסוג GNE. יחד עם זאת, ייתכן שהמשתתפים עצמם לא יפיקו תועלת ברורה.



עלולים לכלול סיכונים. כל מחקר קליני יכול לטמון בחובו סיכונים, כגון הסיכון לתופעות לוואי מטיפול המחקר. אנא שוחחי עם הרופא המחקר שלך על סיכונים ספציפיים הקשורים למחקר זה.



למידע נוסף בקר/י באתר
www.clinicaltrials.gov
(חיפוש לפי NCT02377921)

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

שוחחי עם הרופא שלך על בדיקות גנטיות למיופתיה מסוג GNE:

רופאים יכולים להזמין בדיקה גנטית למיופתיה מסוג GNE ללא עלות עבור אנשים עם תסמינים חשודים. לקבלת מידע נוסף, רופאים וצוות המשרד יכולים ליצור קשר דרך הדואר האלקטרוני:

GNEM@engagehealth.com

ultragenyx
pharmaceutical

עדכוני מחקר מיופתיה מסוג GNE למטופלים

למד/י על מחקר רפואי שלב 3
במיופתיה מסוג GNE, הידועה גם
כמיופתיה תורשתית מסוג גופיפי
הסגר (HIBM)

ultragenyx

מה אני צריך/ה לדעת על מחקר שלב 3 בחומצה אסנורמית בשחרור מושהה

- המחקר שלב 3 יאסוף מידע על הבטיחות והיעילות של חומצה אסנורמית (חומצה סיאלית) בשחרור מושהה (ER) באנשים עם מיופתיה מסוג GNE.
- חומצה אסנורמית בשחרור מושהה היא תרופה ניסיונית.
- לאחר הביקור הראשוני שלך, ההשתתפות במחקר דורשת ביקור של יום-יומיים במרכז המחקר פעם בחודשיים במשך המחקר בן 48 השבועות, לסך של שמונה ביקורים.
- המחקר יהיה מבוקר פלצבו, כלומר חצי מהמשתתפים במחקר יקבלו חומצה אסנורמית בשחרור מושהה וחצי יקבלו פלצבו (גלולת סוכר).
- לאחר המחקר, לכל המשתתפים תינתן האפשרות להשתתף במחקר הארכה שבו הם יקבלו חומצה אסנורמית בשחרור מושהה.
- הוצאות סבירות על נסיעות למרכזי המחקר במרחקים מתקבלים על הדעת יכוסו.

מחקר רפואי שלב 3

מחקר רפואי שלב 3 באנשים עם מיופתיה מסוג GNE, הידועה גם כמיופתיה תורשתית מסוג גופיפי הסגר (HIBM) או מיופתיה מסוג נונאקה יצא לדרך. המחקר יהיה פתוח לאנשים בגילאי 18-55 שיכולים ללכת מרחק של לפחות 200 מטר תוך שש דקות מבלי להיעזר במקל הליכה, קביים, הליכון או עזרי הליכה אחרים. מותר שימוש בסד קרסול כף רגל.

ישנם קריטריונים נוספים הדרושים להשתתפות, ולא כל האנשים יתאימו לקריטריונים של המחקר. מטופלים הנוטלים חומצה סיאלית, ManNac, תוסף צמח ההיפריקום (או כל דבר אחר היוצר חומצה סיאלית בגוף) יתבקשו להפסיק את נטילת התרופות 60 יום לפני ביקור הסינון.

שוחחי/ עם הרופא שלך לקבלת מידע נוסף על מחקר שלב 3 גלובלי זה

