

Les études cliniques :



Sont confidentielles. La participation à une étude clinique est confidentielle. Les noms des participants ou toute autre information permettant leur identification ne seront pas divulgués dans les rapports de données.



Sont gratuites. Les participants seront remboursés pour des frais de déplacements raisonnables, notamment les déplacements aller-retour vers le service hospitalier qui mène l'étude, 1 à 2 nuits d'hôtel par visite ainsi que les repas pour le participant et un accompagnateur. Tous les soins médicaux liés à l'étude seront également gratuits.



Sont importantes pour toute la communauté. Participer à une étude clinique contribue à la recherche et peut profiter à d'autres personnes atteintes d'une myopathie GNE. Cependant, il est possible que les patients participant n'en tirent aucun bénéfice clair.



Peuvent comporter des risques. Toute étude de recherche clinique peut comporter des risques, comme l'apparition d'effets secondaires liés au traitement étudié. Prenez le temps de discuter des risques spécifiques avec le médecin en charge de l'étude.

Pour en savoir plus, consultez le site www.clinicaltrials.gov
(effectuez une recherche à l'aide du code NCT02377921)

Kim Mooney
+1 415-483-8872
kmooney@ultragenyx.com

Tests génétiques de dépistage de la myopathie GNE : parlez-en avec votre médecin.

Votre médecin peut vous prescrire gratuitement un test génétique de dépistage de la myopathie GNE si vous présentez des symptômes suspects. Les médecins et le personnel administratif peuvent contacter GNEM@engagehealth.com pour plus de renseignements.

ultragenyx
pharmaceutical

État des lieux de la recherche sur la myopathie GNE à l'attention des patients

Découvrez-en plus sur une étude
de recherche clinique de phase 3
portant sur la myopathie GNE,
également connue sous le nom de
myopathie à inclusions autosomique
récessive (Hereditary Inclusion Body
Myopathy, HIBM)

ultragenyx

Étude de recherche clinique de phase 3

Une étude clinique de phase 3 chez des personnes atteintes de myopathie GNE, également connue sous le nom de myopathie à inclusions autosomique récessive (HIBM) ou myopathie de Nonaka, est en cours de recrutement. Cette étude est ouverte aux personnes âgées de 18 à 55 ans, capables de marcher sur une distance de 200 mètres au moins, en 6 minutes, sans utiliser ni canne, ni béquille, ni déambulateur ni tout autre dispositif d'assistance. Les orthèses de cheville sont autorisées.

Pour participer à l'étude, les candidats doivent obligatoirement répondre à certains critères supplémentaires. Les patients prenant de l'acide sialique, de la N-Acetylmannosamine, du millepertuis (ou tout autre produit entraînant une production d'acide sialique dans le corps) devront arrêter de prendre ces médicaments 60 jours avant la visite de sélection.

Consultez votre médecin pour en savoir plus sur cette étude mondiale de phase 3

Que dois-je savoir sur l'étude de phase 3 portant sur l'acide acéneuramique LP ?

- L'étude de phase 3 recueillera des informations sur la sécurité et l'efficacité de l'acide acéneuramique (acide sialique) à libération prolongée (LP) chez des personnes atteintes d'une myopathie GNE.
- L'acide acéneuramique LP est un médicament expérimental.
- Après une première consultation dans le service hospitalier qui mène l'étude, votre participation impliquera une consultation s'étalant sur un à deux jours dans ce service, tous les deux mois, pendant toute la durée de l'étude de 48 semaines, soit au total huit visites.
- L'étude sera contrôlée par placebo, ce qui signifie que la moitié des patients recrutés recevra de l'acide acéneuramique LP et que l'autre moitié recevra un placebo (comprimé contenant du sucre).
- À la fin de l'étude, tous les participants pourront éventuellement rejoindre une étude d'extension pendant laquelle ils recevront de l'acide acéneuramique LP.
- Des frais de déplacement raisonnables vers le service hospitalier qui mène l'étude clinique, situé à une distance acceptable, seront couverts.



Pour en savoir plus, consultez le site www.clinicaltrials.gov (effectuez une recherche à l'aide du code NCT02377921)