

Acerca de los ensayos clínicos:



Son confidenciales. La participación en un ensayo clínico es confidencial. Los nombres de los participantes y otra información que pueda identificarlos no se revelan en los datos de los informes.



No conllevan ningún coste. Se reembolsará a los participantes el dinero gastado razonablemente en los desplazamientos, lo que incluye los viajes de ida y vuelta al centro del estudio, 1-2 noches de hotel por visita y las comidas del participante y un acompañante. Los participantes también recibirán atención médica gratuita relacionada con el estudio.



Son importantes para la comunidad. La participación en estudios clínicos contribuye a la investigación y puede beneficiar a otras personas afectadas, en este caso de miopatía GNE. Sin embargo, es posible que los pacientes que participan no obtengan un claro beneficio directo.



No están libres de riesgos. Cualquier estudio de investigación clínica puede suponer riesgos, como el riesgo de efectos secundarios al tratamiento. Hable con su médico de los posibles riesgos específicos asociados a este estudio.

Para más información, visite
www.clinicaltrials.gov (busque
el código NCT02377921)

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

Hable con su médico acerca de pruebas genéticas de la miopatía GNE:

Los médicos especialistas pueden solicitar pruebas genéticas gratuitas para diagnosticar la miopatía GNE en las personas con indicios y/o síntomas. Los especialistas y sus equipos pueden obtener más información contactando con GNEM@engagehealth.com.

ultragenyx
pharmaceutical

Actualización para pacientes acerca de la investigación sobre la miopatía hereditaria por cuerpos de inclusión o miopatía GNE

Le presentamos un ensayo de
investigación clínica de fase III sobre
miopatía GNE, también conocida
como miopatía hereditaria por
cuerpos de inclusión (Hereditary
Inclusion Body Myopathy, HIBM)

ultragenyx

Ensayo de investigación clínica de fase III

Se está llevando a cabo un ensayo clínico de fase III con personas que padecen miopatía GNE, también conocida como miopatía hereditaria por cuerpos de inclusión (HIBM) o miopatía de Nonaka. En este estudio podrán participar personas de entre 18 y 55 años, capaces de recorrer andando una distancia igual o superior a 200 metros, (unas 200 yardas, lo que equivale a 2 campos de fútbol) en un tiempo de seis minutos, sin utilizar bastones, muletas, andadores ni otros elementos de soporte. Se admiten los aparatos ortopédicos para tobillo y pie.

Para poder participar, también se deben cumplir ciertos criterios adicionales y no todas las personas los podrán cumplir. A los pacientes que tomen ácido siálico, ManNac o hierba de san Juan (o cualquier otro producto que produzca ácido siálico en el organismo) se les pedirá que interrumpan su medicación durante los 60 días previos a la visita de selección.

Consulte a su médico si desea más información sobre este estudio global de fase III

¿Qué debo saber sobre el estudio de fase III del ácido aceneurámico (ácido siálico) de liberación prolongada (LP)?

- El estudio de fase III recopilará información sobre la seguridad y la eficacia del ácido aceneurámico (ácido siálico) de liberación prolongada (LP) en personas con miopatía GNE.
- El ácido aceneurámico de LP es un fármaco en fase de investigación.
- Después de su visita inicial al centro del estudio, la participación en el estudio le exigirá visitar el centro del estudio uno o dos días cada dos meses durante las 48 semanas de duración del estudio, lo que supone un total de ocho visitas.
- El estudio será controlado con placebo, lo que significa que la mitad de los pacientes reclutados recibirá ácido aceneurámico de LP mientras que la otra mitad recibirá placebo (una píldora de azúcar).
- Después del estudio, los participantes podrán tener la oportunidad de participar en un estudio de extensión en el que serán tratados con ácido aceneurámico de LP.
- Se cubrirán los gastos razonables de desplazamiento a los centros del estudio clínico, dentro de unas distancias aceptables.



Para más información, visite www.clinicaltrials.gov (busque el código NCT02377921)