

Esistono criteri di inclusione correlati a età, mutazioni genetiche o funzionalità fisica?

Soggetti di sesso maschile di età compresa tra 18 e 50 anni con diagnosi di Becker. Dovrà fornire una copia del referto genetico che documenti la Sua diagnosi. Ciò può avvenire sotto forma di referto di laboratorio. Dovrà essere in grado di svolgere diverse attività di funzionalità fisica, come camminare per 100 metri in un determinato periodo di tempo. Per percorrere interamente i 100 metri possono essere utilizzati dispositivi di assistenza (come ortesi o bastone).

Posso continuare ad assumere altri medicinali e integratori?

L'assunzione di alcuni medicinali e integratori non è consentita durante lo studio. Alcuni di questi includono echinacea, iperico, digossina, barbiturici, alcuni farmaci antimicotici, ciprofloxacina (un antibiotico) e diltiazem. Inoltre, non deve aver assunto steroidi orali per la gestione della Becker nei 6 mesi precedenti. Parli con il Suo medico se ha domande sui medicinali e sugli integratori che può assumere durante lo studio GRAND CANYON.

Dove si svolge lo studio? Cosa succede se non vivo vicino a un centro di ricerca?

Si prevede che questo studio si svolgerà presso centri negli Stati Uniti, in Europa e nella regione Asia-Pacifico. Un'azienda fornitrice di supporto ai viaggi organizzerà il trasporto dal e verso il centro delle visite. Ciò include il viaggio aereo se vive lontano dal centro di ricerca più vicino.

È prevista assistenza per le spese di viaggio?

Lo studio sosterrà le spese di viaggio, compresi trasporto, alloggio in albergo e pasti per Lei e un ulteriore viaggiatore dal e verso il centro delle visite. Il personale del centro collaborerà con l'azienda fornitrice di supporto ai viaggi per organizzare il viaggio per Lei. Possono essere rimborsate anche le spese di viaggio vive aggiuntive (come parcheggio e pedaggi).

L'accesso a EDG-5506 sarà offerto dopo il completamento di questo studio?

Intendiamo offrire uno studio in aperto (uno studio in cui i partecipanti sappiano di ricevere EDG-5506) dopo il completamento del primo periodo di 18 mesi per consentire a tutti i partecipanti di continuare a ricevere EDG-5506. Questa estensione dipende dall'approvazione da parte dei comitati etici e delle autorità regolatorie competenti.

Posso prendere visione dei miei risultati individuali? Quando conoscerò i risultati dello studio?

I risultati potranno essere resi disponibili quando il lavoro relativo allo studio sarà stato completato. A quel punto, Lei potrà chiedere al medico dello studio di prendere visione della Sua documentazione dello studio.

Grazie

Sappiamo che vivere con la Becker e partecipare a uno studio clinico è impegnativo. Il Suo ruolo è fondamentale e la Sua partecipazione a questo studio incrementerà le conoscenze su EDG-5506. La ringraziamo per la Sua attenzione nell'aiutare a identificare un potenziale nuovo farmaco per le persone che convivono con la Becker.



Benvenuto nello studio GRAND CANYON!





La ringraziamo per il Suo interesse nello studio GRAND CANYON: uno studio sulla distrofia muscolare di Becker (DMB) (EDG-5506-201) sponsorizzato da Edgewise Therapeutics. GRAND CANYON studierà la sicurezza e l'efficacia di un farmaco sperimentale chiamato EDG-5506 rispetto al placebo (che ha lo stesso aspetto di EDG-5506 ma non contiene alcun principio attivo) in adulti affetti da Becker.

Ci rendiamo conto che la partecipazione a uno studio di ricerca è una decisione importante per i partecipanti e le loro famiglie. Il Suo ruolo nello studio è importante. Questo opuscolo Le fornirà ulteriori informazioni su EDG-5506 e sullo studio GRAND CANYON. Può porre domande al medico dello studio e al personale del centro in qualsiasi momento.

Cosa si sa di EDG-5506?

EDG-5506 è un farmaco sperimentale in fase di studio per il trattamento della Becker. EDG-5506 non è stato approvato da alcuna autorità regolatoria in quanto la sicurezza e l'efficacia di EDG-5506 non sono state dimostrate. Partecipando, sta aiutandoci a saperne di più su come EDG-5506 potrebbe aiutarLa e sta aiutando anche altre persone che convivono con la Becker.

Come si ritiene che funzioni EDG-5506?

EDG-5506 è progettato per prevenire lesioni muscolari indotte dalla contrazione che si verificano con l'attività giornaliera nell'ambito della Becker. In questo studio, stiamo valutando se EDG-5506 riduce il danno muscolare e mantiene la funzione modificando il modo in cui si verifica la contrazione. Limitare il danno muscolare nelle persone affette da Becker potrebbe aiutare a modificare la progressione della malattia.

EDG-5506 è stato studiato in precedenza?

EDG-5506 è stato somministrato a 110 volontari sani e 12 adulti affetti da Becker. È stato ben tollerato.

Quali effetti collaterali sono stati osservati finora?

Gli effetti collaterali più comuni sono stati capogiri e sonnolenza.

Cosa succederà nello studio clinico?

Lo studio GRAND CANYON durerà all'incirca 18 mesi. Se partecipa allo studio, assumerà compresse di EDG-5506 o placebo una volta al giorno per bocca per 18 mesi. L'assegnazione a EDG-5506 o placebo avverrà in modo casuale (come se fosse decisa con il lancio di una moneta). Lei avrà una probabilità del 66% di ricevere EDG-5506 e una probabilità del 33% di ricevere placebo.

Dovrà presentarsi al centro circa 7 volte per sottoporsi a valutazioni di sicurezza, valutazioni funzionali ed esami del sangue. Dovrà indossare un dispositivo di monitoraggio delle attività per misurare le attività giornaliere abituali. Non sono previste biopsie muscolari in questo studio.