



Zorg je voor iemand met CDKL5-deficiëntiestoornis?

Overweeg de GEMZ-studie voor kinderen en jongvolwassenen die ongecontroleerde aanvallen hebben door CDKL5-deficiëntiestoornis

Wat is de GEMZ-studie?

Zogenix International Limited voert een fase 3-onderzoeksstudie uit, de GEMZ-studie genaamd, waarin een experimentele middel zal worden getest, fenfluraminehydrochloride (ZX008) genaamd, bij mensen die frequente epileptische aanvallen hebben die gepaard gaan met cyclineafhankelijke, kinaseachtige 5 (CDKL5) -deficiëntiestoornis (CDS). Fenfluraminehydrochloride wordt dagelijks via de mond (oraal) ingenomen.

De GEMZ-studie is een uit 2 delen bestaande studie die tot 98 weken (ong. 2 jaar) duurt en tot 18 bezoeken aan het studiecentrum omvat. Tijdens deel 1, dat 20 weken duurt, worden de deelnemers gerandomiseerd (zoals het opgooien van een munt) om ofwel fenfluramine (ZX008) ofwel een placebo te krijgen die eruitziet als fenfluraminehydrochloride, maar geen medisch werkzame bestanddelen bevat. Tijdens deel 2 van de studie, die tot 78 weken duurt, krijgen alle deelnemers fenfluraminehydrochloride.

Voor deze studie zijn testen en procedures vereist, waarvan sommige deel uitmaken van de normale zorg voor mensen met CDS, zoals het meten van de vitale parameters (bijv. bloeddruk, hartslag) en het ondergaan van lichamelijke onderzoeken. Er worden ook bloed- en urinestalen verzameld.

Ongeveer 80 patiënten zullen worden ingeschreven voor deze wereldwijde studie in ongeveer 70 studiecentra.



Wie kan deelnemen aan de GEMZ-studie?

Om deel te nemen moeten patiënten:

- tussen 2 en 35 jaar oud zijn;
- een bevestigde mutatie in het CDKL5-gen hebben waarvan wordt gedacht dat ze hun ziekte veroorzaakt;
- een diagnose hebben van CDS met epilepsie die begint in het eerste levensjaar;
- last hebben van motorische en ontwikkelingsvertragingen;
- last hebben van ongecontroleerde aanvallen ondanks eerder of huidig gebruik van 2 of meer behandelingen tegen aanvallen;
- momenteel ten minste 1 behandeling tegen aanvallen krijgen;
- momenteel niet meer dan 4 geneesmiddelen tegen aanvallen krijgen (met uitzondering van noodmedicatie);
- 4 of meer motorische aanvallen per week hebben;
- niet eerder zijn behandeld met Fintepla® (fenfluraminehydrochloride).

Er zijn bijkomende criteria waaraan moet worden voldaan; het studieteam zal deze bespreken met potentiële deelnemers en hun verzorgers.

Wat zijn de mogelijke risico's van de GEMZ-studie?

Aan deelname aan elke onderzoeksstudie zijn mogelijke risico's verbonden, waaronder bijwerkingen van het experimentele geneesmiddel. Elk geneesmiddel houdt een mogelijk risico op een allergische reactie in. Alle deelnemers zullen zorgvuldig worden gecontroleerd op bijwerkingen en allergische reacties.

Wat zijn de mogelijke voordelen van deelname aan de GEMZ-studie?

Er is geen garantie dat deelnemers een gezondheidsvoordeel zullen halen uit hun deelname aan de GEMZ-studie. De resultaten van deze studie kunnen informatie opleveren over CDS en kunnen anderen in de toekomst helpen deze ziekte beter te begrijpen. De gegevens die uit deze onderzoeksstudie worden verzameld, kunnen informatie opleveren om behandelingen vooruit te helpen, nieuwe ontdekkingen te doen en te bepalen of het experimentele geneesmiddel fenfluramine (ZX008) goed wordt verdragen door en doeltreffend is bij kinderen en jongvolwassenen met CDS.

Overweeg de GEMZ-studie

Om meer te weten te komen over de GEMZ-studie en te kijken of iemand voor wie je zorgt mogelijk in aanmerking komt voor deelname, neem dan contact op met:

cddstudy.com

