



Vous accompagnez une personne atteinte de trouble du déficit en CDKL5 ?

Envisagez de participer à l'étude GEMZ destinée aux enfants et jeunes adultes qui souffrent de crises non contrôlées en raison d'un trouble du déficit en CDKL5

Présentation de l'étude GEMZ

Zogenix International Limited mène une étude de recherche de phase III, dénommée l'étude GEMZ, qui évaluera un médicament expérimental appelé chlorhydrate de fenfluramine (ZX008) chez les personnes ayant des crises épileptiques fréquentes associées à un trouble du déficit en CDKL5 (cyclin-dependent kinase-like 5) (TDC). Le chlorhydrate de fenfluramine est pris tous les jours, par la bouche (voie orale).

L'étude GEMZ est une étude en 2 parties, qui durera 98 semaines (environ 2 ans) au plus et qui comprendra jusqu'à 18 visites au centre d'étude. Pendant la partie 1, qui dure 20 semaines, les participants seront répartis au hasard (comme à pile ou face) entre le groupe qui reçoit la fenfluramine (ZX008) et le groupe qui reçoit le placebo, qui ressemble au chlorhydrate de fenfluramine, mais qui ne contient pas d'ingrédient médicalement actif. Pendant la partie 2 de l'étude, qui dure 78 semaines, tous les participants recevront le chlorhydrate de fenfluramine.

Des tests et procédures devront être effectués pendant cette étude, certains font partie des soins usuels des personnes atteintes d'un TDC, comme la mesure des signes vitaux (p. ex. tension artérielle, fréquence cardiaque) et les examens cliniques. Des échantillons de sang et d'urine seront également recueillis.

Environ 80 patients seront recrutés dans cette étude mondiale dans environ 70 centres d'étude.



Qui peut participer à l'étude GEMZ ?

Pour pouvoir participer, les patients doivent :

- Être âgés de 2 à 35 ans
- Présenter une mutation confirmée du gène CDKL5, dont on pense qu'elle est à l'origine de la maladie
- Avoir reçu un diagnostic de TDC avec épilepsie, ayant commencé au cours de la première année de vie
- Présenter des retards moteurs et du développement
- Avoir des crises non contrôlées malgré l'utilisation antérieure ou actuelle de 2 traitements antiépileptiques ou plus
- Recevoir actuellement au moins 1 traitement antiépileptique
- Ne pas recevoir actuellement plus de 4 traitements antiépileptiques (à l'exclusion des médicaments de secours)
- Avoir 4 crises motrices ou plus par semaine
- Ne pas avoir déjà été traités par Fintepla® (chlorhydrate de fenfluramine)

Il existe également d'autres critères à remplir. Ils seront discutés entre le personnel de l'étude et le participant potentiel et son accompagnant.

Quels sont les risques possibles liés à l'étude GEMZ ?

Participer à une étude de recherche, quelle qu'elle soit, comporte des risques, notamment les effets secondaires du médicament expérimental. Tout médicament présente un risque potentiel de réaction allergique. Tous les participants seront étroitement surveillés afin de détecter tout effet secondaire et toute réaction allergique.

Quels sont les bénéfices potentiels de la participation à l'étude GEMZ ?

Il n'existe aucune garantie que les participants retirent un quelconque bénéfice pour leur santé de leur participation à l'étude GEMZ. Les résultats de la présente étude pourront fournir des informations sur le TDC et pourront aider d'autres personnes à l'avenir grâce à une meilleure compréhension de la maladie. Les données réunies grâce à cette étude de recherche peuvent fournir des informations pour faire avancer les traitements, faire de nouvelles découvertes et déterminer si le médicament expérimental, la fenfluramine (ZX008), est bien toléré et est efficace chez les enfants et les jeunes adultes atteints de TDC.

Envisagez de participer à l'étude GEMZ

Pour en savoir plus sur l'étude GEMZ et savoir si la personne que vous accompagnez est en mesure d'y participer, veuillez prendre contact avec :

cddstudy.com

