



Betreuen Sie jemanden mit CDKL5-Mangel-Syndrom?

Dann ziehen Sie die GEMZ-Studie für Kinder und junge Erwachsene mit unkontrollierten Anfällen aufgrund des CDKL5-Mangel-Syndroms in Betracht.

Einführung in die GEMZ-Studie

Zogenix International Limited führt eine Forschungsstudie der Phase III durch, die als GEMT-Studie bezeichnet wird, und bei der ein Prüfpräparat (Studienmedikament) namens Fenfluraminhydrochlorid (ZX008) bei Personen mit häufigen epileptischen Anfällen im Zusammenhang mit Cyclin-abhängigem Kinase-ähnlichen 5 (CDKL5)-Mangel-Syndrom (CDD) untersucht werden soll. Fenfluraminhydrochlorid wird täglich über den Mund (oral) eingenommen.

Die GEMZ-Studie ist eine Studie in 2 Teilen, die bis zu 98 Wochen (etwa 2 Jahre) dauern wird und bis zu 18 Besuchsterminen beinhaltet. In Teil 1, der 20 Wochen dauern wird, werden Teilnehmer nach dem Zufallsprinzip (wie beim Werfen einer Münze) entweder dem Erhalt von Fenfluraminhydrochlorid (ZX008) oder Placebo zugewiesen. Placebo sieht aus wie Fenfluraminhydrochlorid, enthält aber keine arzneilich wirksamen Bestandteile. In Teil 2 der Studie, der bis zu 78 Wochen dauern wird, erhalten alle Teilnehmer Fenfluraminhydrochlorid.

Für diese Studie sind Untersuchungen und Verfahren vorgeschrieben, von denen einige Teil der üblichen Versorgung von Personen mit CDD sind, wie zum Beispiel Messung von Vitalfunktionen (z. B. Blutdruck, Herzfrequenz) und körperliche Untersuchungen. Blutproben werden entnommen und Urinproben abgegeben.

Es werden etwa 80 Patienten an etwa 70 Prüfzentren in diese globale Studie aufgenommen.



Wer kann an der GEMZ-Studie teilnehmen?

Um teilnehmen zu können, müssen Patienten:

- im Alter von 2 bis 35 Jahren sein
- eine bestätigte Mutation des CDKL5-Gens haben, von der angenommen wird, dass sie die Ursache der Erkrankung ist
- mit CDD mit Epilepsie diagnostiziert worden sein, die erstmals im ersten Lebensjahr aufgetreten ist
- motorische und Entwicklungsverzögerungen aufweisen
- unkontrollierte epileptische Anfälle haben, trotz früherer oder gegenwärtiger Anwendung von 2 oder mehr Behandlungen gegen Epilepsie
- gegenwärtig mindestens eine Behandlung gegen Epilepsie erhalten
- gegenwärtig nicht mehr als 4 Antiepileptika erhalten (mit Ausnahme der Bedarfsmedikation)
- vier oder mehr motorische Anfälle pro Woche haben
- zuvor noch nicht mit Fintepla® (Fenfluraminhydrochlorid) behandelt worden sein.

Es müssen noch weitere Kriterien erfüllt werden, die das Studienteam mit potenziellen Teilnehmern und deren Betreuern besprechen wird.

Worin bestehen die möglichen Risiken der GEMZ-Studie?

Jede Teilnahme an einer Forschungsstudie ist mit potenziellen Risiken verbunden, einschließlich der Nebenwirkungen des Studienmedikaments. Bei jedem Medikament besteht das mögliche Risiko einer allergischen Reaktion. Alle Teilnehmer werden engmaschig auf alle Nebenwirkungen und allergische Reaktionen überwacht.

Welchen potenziellen Nutzen hat die Teilnahme an der GEMZ-Studie?

Es besteht keine Garantie, dass Teilnehmer einen gesundheitlichen Nutzen aus der Teilnahme an der GEMZ-Studie ziehen werden. Die Ergebnisse dieser Studie können Erkenntnisse über CDD liefern und, indem sie zu einem besseren Verständnis der Erkrankung führen, in Zukunft anderen Personen helfen. Die Daten, die durch diese Forschungsstudie erhoben werden, können Informationen liefern, um die Entwicklung von Behandlungen voranzutreiben, neue Entdeckungen zu machen und um festzustellen, ob das Studienmedikament (ZX008) bei Kindern und jungen Erwachsenen mit CDD gut verträglich und wirksam ist.

Ziehen Sie die GEMZ-Studie in Erwägung

Um mehr über die GEMZ-Studie zu erfahren und sich zu erkundigen, ob jemand, den Sie betreuen, teilnehmen könnte, wenden Sie sich bitte an:

cddstudy.com

