



¿Cuida de alguien con **síndrome por deficiencia de CDKL5?**

Eche un vistazo al estudio GEMZ para niños y jóvenes con crisis epilépticas no controladas derivadas del síndrome por deficiencia de CDKL5

Presentamos el estudio GEMZ

Zogenix International Limited está realizando un estudio en fase III denominado «estudio GEMZ», que evaluará un medicamento en investigación llamado clorhidrato de fenfluramina (ZX008) en personas con crisis epilépticas frecuentes derivadas del síndrome por deficiencia de cinasa de tipo 5 dependiente de ciclina (CDKL5) (SDC). El clorhidrato de fenfluramina se toma por vía oral a diario.

El estudio GEMZ es un ensayo de dos partes que dura hasta 98 semanas (unos 2 años) e incluye hasta 18 visitas al centro del estudio. Durante la parte 1, que dura 20 semanas, se aleatorizará (como si se decidiera a cara o cruz) a los participantes para que reciban fenfluramina (ZX008) o un placebo, que tiene un aspecto idéntico al clorhidrato de fenfluramina, pero no contiene ningún principio activo. Durante la parte 2 del estudio, que dura hasta 78 semanas, todos los participantes recibirán clorhidrato de fenfluramina.

El estudio requiere diversas pruebas y procedimientos, algunos de los cuales forman parte de la atención habitual de las personas con SDC, como la medición de las constantes vitales (tensión arterial o frecuencia cardíaca, entre otros) y la realización de exploraciones físicas. También se obtendrán muestras de sangre y orina.

En este estudio internacional participarán unos 80 pacientes en unos 70 centros del estudio.



¿Quién puede participar en el estudio GEMZ?

Para participar, los pacientes deben:

- Tener entre 2 y 35 años
- Tener una mutación confirmada en el gen CDKL5, lo que se considera la causa de la enfermedad
- Tener un diagnóstico de SDC con aparición de epilepsia en el primer año de vida
- Tener retrasos motores y del desarrollo
- Tener crisis epilépticas no controladas a pesar de haber utilizado o estar utilizando al menos dos tratamientos antiepilépticos
- Estar recibiendo al menos un tratamiento antiepiléptico
- No estar recibiendo más de 4 antiepilépticos (excepto medicamentos de rescate)
- Tener al menos 4 crisis epilépticas motoras a la semana
- No haber recibido tratamiento previo con Fintepla® (clorhidrato de fenfluramina)

Existen otros criterios que cumplir, que el equipo del estudio comentará con los posibles participantes y sus cuidadores.

¿Cuáles son los posibles riesgos del estudio GEMZ?

Participar en un estudio clínico siempre conlleva riesgos, incluidos los efectos secundarios del medicamento en investigación. Todos los medicamentos conllevan un posible riesgo de generar una reacción alérgica. Se supervisará a todos los participantes detenidamente por si presentasen efectos secundarios y reacciones alérgicas.

¿Cuáles son los posibles beneficios de participar en el estudio GEMZ?

No hay garantía de que la salud de los participantes se vaya a beneficiar de participar en el estudio GEMZ. Los resultados de este estudio pueden proporcionar información sobre el SDC y ayudar a otras personas en el futuro al ayudarnos a conocer mejor la enfermedad. Los datos recopilados con este estudio clínico podrían proporcionar información con la que avanzar en el tratamiento, realizar nuevos hallazgos y determinar si el medicamento en investigación fenfluramina (ZX008) se tolera bien y resulta eficaz en niños y jóvenes con SDC.

Considere la posibilidad de participar en el estudio GEMZ

Si desea más información sobre el estudio GEMZ y averiguar si alguien a quien cuida cumple los requisitos para participar, contacte con:

cddstudy.com

