



¿Cuida a alguien con **trastorno por deficiencia de CDKL5?**

Considere el estudio GEMZ para niños y adultos jóvenes que tienen convulsiones no controladas por el trastorno por deficiencia de CDKL5

Introducción al estudio GEMZ

Zogenix International Limited está realizando un estudio de investigación de fase 3 denominado estudio GEMZ, que evaluará un medicamento en fase de investigación denominado clorhidrato de fenfluramina (ZX008) en personas que presentan ataques epilépticos frecuentes asociados con el trastorno por deficiencia de la cinasa tipo 5 dependiente de ciclina (CDKL5), o TDC. El clorhidrato de fenfluramina se toma diariamente por vía oral (por boca).

El estudio GEMZ es un ensayo de 2 partes que dura hasta 98 semanas (aproximadamente 2 años) e incluye hasta 18 visitas al centro del estudio. Durante la parte 1, que dura 20 semanas, los participantes serán asignados al azar (como si se lanzara una moneda al aire) para recibir fenfluramina (ZX008) o placebo, que se parece al clorhidrato de fenfluramina pero no contiene ingredientes medinales activos. Durante la parte 2 del estudio, que dura hasta 78 semanas, todos los participantes recibirán clorhidrato de fenfluramina.

Se requieren pruebas y procedimientos para este estudio, algunos de los cuales son parte de la atención normal para las personas con TDC, como la medición de signos vitales (p. ej., presión arterial, frecuencia cardíaca) y exámenes físicos. También se obtendrán muestras de sangre y orina.

Aproximadamente 80 pacientes se inscribirán en este estudio global en unos 70 centros del estudio.



¿Quién puede participar en el estudio GEMZ?

Para poder participar, los pacientes deben:

- Tener entre 2 y 35 años de edad
- Tener una mutación confirmada en el gen CDKL5 que se cree que causa su enfermedad
- Tener un diagnóstico de TDC con epilepsia que haya comenzado en el primer año de vida
- Tener retrasos motores y del desarrollo
- Tener convulsiones no controladas a pesar del uso previo o actual de 2 o más tratamientos anticonvulsivos
- Estar recibiendo actualmente al menos 1 tratamiento anticonvulsivo
- No estar recibiendo actualmente más de 4 medicamentos anticonvulsivos (excluidos los medicamentos de rescate)
- Tener 4 o más convulsiones motoras por semana
- No haber recibido tratamiento previamente con Fintepla® (clorhidrato de fenfluramina)

Hay criterios adicionales que deben cumplirse, que el equipo del estudio analizará con los posibles participantes y sus cuidadores.

¿Cuáles son los posibles riesgos del estudio GEMZ?

Existen riesgos al participar en cualquier estudio de investigación, incluidos los efectos secundarios del medicamento en fase de investigación. Todo medicamento tiene un posible riesgo de provocar una reacción alérgica. Todos los participantes serán monitoreados rigurosamente para detectar efectos secundarios y reacciones alérgicas.

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

No hay garantía de que los participantes obtengan algún beneficio de salud por participar en el estudio GEMZ. Los resultados de este estudio pueden proporcionar información sobre el TDC y pueden ayudar a otras personas en el futuro al ayudar a comprender mejor la enfermedad. Los datos recopilados de este estudio de investigación pueden proporcionar información para avanzar en los tratamientos, hacer nuevos descubrimientos y determinar si el medicamento en fase de investigación fenfluramina (ZX008) es bien tolerado y efectivo en niños y adultos jóvenes con TDC.

Considere el estudio GEMZ

Para obtener más información sobre el estudio GEMZ y averiguar si alguien a quien usted cuida puede participar, comuníquese con:

cddstudy.com

