



אתם מטפלים באדם עם הפרעת מחסור ב-CDKL5?

**שקלו לקחת חלק במחקר GEMZ עבור ילדים
ומבוגרים צעירים שיש להם פרכוסים בלתי
נשלטים עקב הפרעת מחסור ב-CDKL5**

הכירו את המחקר GEMZ

Zogenix International Limited עורכת מחקר שלב 3 בשם מחקר GEMZ, שבו תיבחן תרופה ניסיונית בשם פנפלורמין הידרוכלוריד (fenfluramine hydrochloride), או ZX008) אצל אנשים החווים פרכוסים אפילפטיים תכופים להפרעת מחסור בגן (CDKL5) cyclin-dependent kinase-like 5 (או בקיצור: CDD). את התרופה פנפלורמין הידרוכלוריד יש ליטול פעם ביום דרך הפה.

מחקר GEMZ הוא ניסוי קליני ב-2 חלקים שנמשך עד 98 שבועות (כשנתיים) וכולל עד 18 ביקורים במרכז המחקר. במהלך חלק 1, שנמשך 20 שבועות, המשתתפים ישובצו באקראי (כמו בהטלת מטבע) לקבלת פנפלורמין (ZX008) או פלצבו, נוזל שנראה כמו פנפלורמין הידרוכלוריד אך אינו מכיל שום מרכיב פעיל רפואית. במהלך חלק 2 של המחקר, שנמשך עד 78 שבועות, כל המשתתפים יקבלו פנפלורמין הידרוכלוריד.

במסגרת המחקר ייערכו בדיקות והליכים רפואיים, שחלקם הם חלק מהטיפול הרגיל באנשים עם CDD, כגון מדידת סימנים חיוניים (למשל, לחץ דם ודופק) ובדיקות גופניות. כמו כן ייאספו דגימות דם ושתן.

למחקר גלובלי זה יגויסו כ-80 מטופלים בכ-70 מרכזי מחקר.



מהם הסיכונים האפשריים של מחקר GEMZ?

השתתפות במחקרים רפואיים כרוכה בסיכונים אפשריים, כולל תופעות לוואי שנגרמות מתרופת המחקר. כל תרופה כרוכה בסיכון אפשרי לתגובה אלרגית. כל המשתתפים ינטרו בקפידה כדי לזהות תופעות לוואי ותגובות אלרגיות.

מהם היתרונות האפשריים של ההשתתפות במחקר GEMZ?

אין כל ערובה לכך שהמשתתפים יפיקו תועלת בריאותית כלשהי עקב השתתפותם במחקר GEMZ. תוצאות המחקר הזה עשויות לספק מידע על CDD ועשויות לעזור לאחרים בעתיד בכך שיעזרו להבין יותר את המחלה. הנתונים שייאספו במחקר זה עשויים לספק מידע שיקדם טיפולים משופרים, יעודד תגליות חדשות ויקבע אם תרופת המחקר, פנפלורמין (ZX008), נסבלת היטב ויעילה אצל ילדים ומבוגרים צעירים עם CDD.

שקלו לקחת חלק במחקר GEMZ

למידע נוסף על מחקר GEMZ וכדי לבדוק אם מישהו שאתם מטפלים בו יוכל להצטרף למחקר, צרו קשר עם:

מי יכול להשתתף במחקר GEMZ?

כדי להשתתף במחקר, המטופלים חייבים לעמוד בקריטריונים הבאים:

- בני שנתיים עד 35
- בעלי מוטציה מאומתת בגן CDK5, שנחשבת לגורם למחלתם
- בעלי אבחנה של CDD עם אפילפסיה, שהחלה לפני גיל שנה
- בעלי עיכובים מוטוריים והתפתחותיים
- חווים פרכוסים בלתי נשלטים למרות שימוש קודם או נוכחי ב-2 או יותר טיפולים נוגדי פרכוסים
- מקבלים כרגע טיפול נוגד פרכוסים אחד לפחות
- אינם מקבלים כרגע יותר מ-4 תרופות נוגדות פרכוסים (למעט תרופות הצלה)
- חווים 4 או יותר פרכוסים בשבוע
- לא טופלו בעבר ב[®]פינטפלה (Fintepla) (פנפלורמין הידרוכלוריד)

יש קריטריונים נוספים שיש לעמוד בהם ושצוות המחקר ישוחח עליהם עם המשתתפים האפשריים ועם המטפלים שלהם.

cddstudy.com

