



Zorg je voor iemand met CDKL5-deficiëntiestoornis?

Overweeg de GEMZ-studie voor kinderen en jongvolwassenen die ongecontroleerde aanvallen hebben door CDKL5-deficiëntiestoornis

Wat is de GEMZ-studie?

Zogenix International Limited voert een fase 3-onderzoeksstudie uit, de GEMZ-studie. Hierin wordt een onderzoeksmiddel getest, fenfluraminehydrochloride (ZX008), bij mensen die frequente epileptische aanvallen hebben die gepaard gaan met cycline-afhankelijke, kinase-achtige 5 (CDKL5)-deficiëntiestoornis (CDD). Fenfluraminehydrochloride wordt dagelijks via de mond (oraal) ingenomen.

De GEMZ-studie is een uit 2 delen bestaande studie die tot 98 weken (ong. 2 jaar) duurt en tot 18 bezoeken aan het studiecentrum omvat. Tijdens deel 1, dat 20 weken duurt, worden de deelnemers gerandomiseerd (zoals het opgooien van een munt) om fenfluramine (ZX008) of een placebo te krijgen. De placebo ziet eruit als fenfluraminehydrochloride, maar bevat geen medisch werkzame bestanddelen. Tijdens deel 2 van de studie, dat tot 78 weken duurt, krijgen alle deelnemers fenfluraminehydrochloride.

Voor deze studie zijn tests en procedures nodig, waarvan sommige deel uitmaken van de normale zorg voor mensen met CDD, zoals het meten van de vitale functies (bijv. bloeddruk, hartslag) en het ondergaan van lichamelijke onderzoeken. Er worden ook bloed- en urinemonsters afgenomen.

Ongeveer 80 patiënten zullen worden ingeschreven voor deze wereldwijde studie in ongeveer 70 studiecentra.



Wie kan meedoen aan de GEMZ-studie?

Om mee te doen moeten patiënten:

- 2 tot 35 jaar oud zijn
- een bevestigde mutatie in het CDKL5-gen hebben waarvan wordt gedacht dat deze hun ziekte veroorzaakt
- een diagnose hebben van CDD met epilepsie die begint in het eerste levensjaar
- motorische en ontwikkelingsvertragingen hebben
- ongecontroleerde aanvallen hebben, ondanks eerder of huidig gebruik van 2 of meer behandelingen tegen aanvallen
- momenteel ten minste 1 behandeling tegen aanvallen krijgen
- momenteel niet meer dan 4 geneesmiddelen tegen aanvallen krijgen (met uitzondering van noodmedicatie)
- 4 of meer motorische aanvallen per week hebben
- niet eerder zijn behandeld met Fintepla® (fenfluraminehydrochloride)

Er zijn aanvullende criteria waaraan moet worden voldaan. Het studieteam zal deze bespreken met potentiële deelnemers en hun verzorgers.

Wat zijn de mogelijke risico's van de GEMZ-studie?

Aan deelname aan elke onderzoeksstudie zijn mogelijke risico's verbonden, waaronder bijwerkingen van het onderzoeksmiddel. Aan elk geneesmiddel is een mogelijk risico op een allergische reactie verbonden. Alle deelnemers zullen zorgvuldig worden gecontroleerd op bijwerkingen en allergische reacties.

Wat zijn de mogelijke voordelen van deelname aan de GEMZ-studie?

Er is geen garantie dat deelnemers een gezondheidsvoordeel zullen halen uit hun deelname aan de GEMZ-studie. De resultaten van deze studie kunnen informatie opleveren over CDD en kunnen anderen in de toekomst helpen deze ziekte beter te begrijpen. De gegevens die uit deze onderzoeksstudie worden verzameld, kunnen informatie opleveren om behandelingen vooruit te helpen, nieuwe ontdekkingen te doen en te bepalen of het onderzoeksmiddel fenfluramine (ZX008) goed wordt verdragen en doeltreffend is bij kinderen en jongvolwassenen met CDD.

Overweeg de GEMZ-studie

Voor meer informatie over de GEMZ-studie en om te zien of iemand voor wie je zorgt misschien kan meedoen, neem je contact op met:

