



Betreuen Sie jemanden mit CDKL5-Mangel-Syndrom?

Dann ziehen Sie die GEMZ-Studie für Kinder und junge Erwachsene mit unkontrollierten Anfällen durch das CDKL5-Mangel-Syndrom in Betracht.

Einführung in die GEMZ-Studie

Zogenix International Limited führt eine Forschungsstudie der Phase 3 durch, als GEMZ-Studie bezeichnet, bei der ein Medikament im Prüfstadium (Prüfmedikament) 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 (ca. 2 Jahre) dauern wird und bis zu 18 Besuchstermine beinhaltet. In Teil 1, der 20 Wochen dauern wird, werden Teilnehmer randomisiert (wie beim Werfen einer Münze), um entweder Fenfluraminhydrochlorid (ZX008) oder Placebo zu erhalten. Placebo sieht aus wie Fenfluraminhydrochlorid, enthält aber keinen arzneilich wirksamen Bestandteil. In Teil 2 der Studie, der bis zu 78 Wochen dauern wird, enthalten alle Teilnehmer Fenfluraminhydrochlorid.

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

Es werden etwa 80 Patienten an circa 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 nachweisen, die vermutlich ihre Erkrankung hervorruft,
- Die Diagnose einer CDD mit Epilepsie, die erstmals im ersten Lebensjahr aufgetreten ist, erhalten haben
- Motorische und Entwicklungsverzögerungen aufweisen,
- Unkontrollierte epileptische Anfälle trotz früherer oder gegenwärtiger Anwendung von 2 oder mehr Behandlungen gegen Epilepsie haben,
- 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 auch weitere Kriterien erfüllt werden, die das Studienteam mit potenziellen Teilnehmern und deren Betreuern besprechen wird.

Worin bestehen die möglichen Risiken der GEMZ-Studie?

Es bestehen mögliche Risiken durch die Teilnahme an jeder Forschungsstudie, darunter Nebenwirkungen des Studienmedikaments. Bei jedem Medikament besteht das mögliche Risiko einer allergischen Reaktion. Alle Teilnehmer werden engmaschig auf 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 in Zukunft anderen Personen helfen, indem sie zu einem besseren Verständnis der Erkrankung führen. Die Daten, die durch diese Forschungsstudie erhoben werden, können Informationen liefern, um Behandlungen zu fördern, neue Entdeckungen machen und um festzustellen, ob das Prüfmedikament (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:

