



## Cuida de alguém com **perturbação de deficiência de CDKL5?**

**Pondere participar no Estudo GEMZ para crianças e jovens adultos que tenham convulsões epilépticas devido a perturbação por deficiência de CDKL5**

### **Apresentamos o Estudo GEMZ**

A Zogenix International Limited está a realizar um estudo de investigação de Fase 3 designado por «Estudo GEMZ», que irá testar uma medicação experimental designada por «cloridrato de fenfluramina» (ZX008) em participantes que têm convulsões epilépticas frequentes associadas a perturbação de deficiência (CDD) do tipo 5 da quinase dependente da ciclina (CDKL5). O cloridrato de fenfluramina é tomado diariamente por via oral (através da boca).

O Estudo GEMZ é um ensaio de 2 partes com uma duração de até 98 semanas (aprox. 2 anos) e inclui até 18 consultas no centro do estudo. Durante a parte 1, com uma duração de 20 semanas, os participantes serão aleatorizados (como atirar uma moeda ao ar) para receberem ou cloridrato de fenfluramina (ZX008) ou placebo, que se parece com cloridrato de fenfluramina, mas não tem quaisquer ingredientes médicos ativos. Durante a parte 2 do estudo, com uma duração de até 78 semanas, todos os participantes irão receber cloridrato de fenfluramina.

Este estudo exige a realização de alguns testes e procedimentos. Alguns fazem parte dos cuidados normais para pessoas com CDD, como a medição dos sinais vitais (por exemplo, pressão arterial, frequência cardíaca) e a realização de exames físicos. Serão também colhidas amostras de sangue e urina.

Cerca de 80 doentes serão incluídos neste estudo global em aproximadamente 70 centros do estudo.



## Quem pode participar no Estudo GEMZ?

De forma a participar, os doentes têm de:

- ter entre os 2 e os 35 anos de idade
- ter uma mutação confirmada no gene CDKL5, que se considera ser a causadora da doença
- ter um diagnóstico de CDD com epilepsia, que iniciou no primeiro ano de vida
- ter atrasos motores e de desenvolvimento
- ter convulsões descontroladas apesar da utilização anterior ou atual de 2 ou mais tratamentos anticonvulsivos
- estar atualmente a receber pelo menos 1 tratamento anticonvulsivo
- não estar a receber atualmente mais de 4 medicações anticonvulsivas (excluindo medicações de resgate)
- ter 4 ou mais convulsões motoras por semana
- não ter recebido tratamento anterior com Fintepla® (cloridrato de fenfluramina)

Existem critérios adicionais que têm de ser cumpridos, sobre os quais a equipa do estudo falará com os possíveis participantes e respetivos cuidadores.

## Quais são os riscos possíveis de participar no Estudo GEMZ?

Há riscos possíveis na participação em qualquer estudo de investigação, incluindo efeitos secundários da medicação experimental. Qualquer medicamento tem um possível risco de reação alérgica. Todos os participantes serão cuidadosamente monitorizados em relação a quaisquer efeitos secundários e reações alérgicas.

## Quais são os benefícios possíveis de participar no Estudo GEMZ?

Não existe qualquer garantia de que os participantes terão qualquer benefício de saúde com a participação no Estudo GEMZ. Ao ajudar a compreender melhor a doença, os resultados deste estudo podem fornecer informação sobre a CDD e podem ajudar outros doentes no futuro. Os dados reunidos através deste estudo de investigação podem fornecer informação para o desenvolvimento de tratamentos, fazer novas descobertas e determinar se a medicação experimental fenfluramina (ZX008) é bem tolerada e eficaz em crianças e jovens adultos com CDD.

## Pondere participar no Estudo GEMZ

Para saber mais sobre o Estudo GEMZ e para saber se alguém de quem cuida pode participar, contacte:

