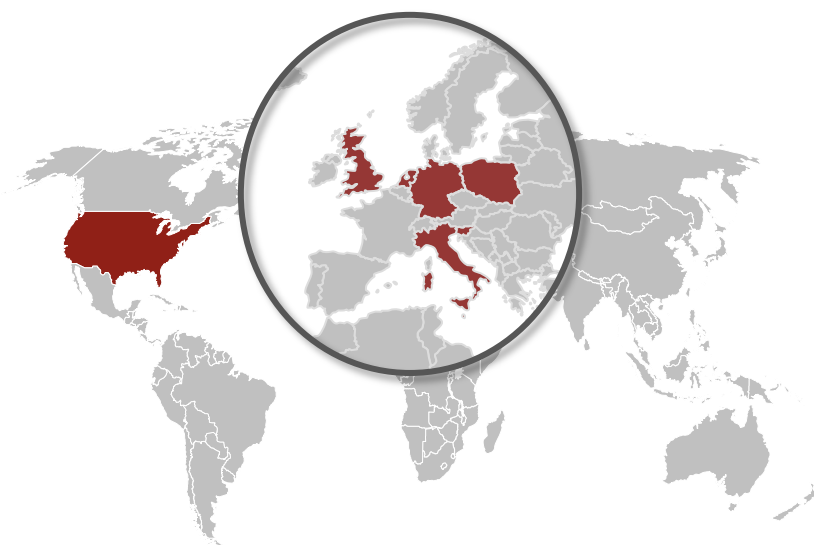


# TIRCON

**Treat Iron-Related Childhood-Onset Neurodegeneration**



## **TIRCON Badanie kliniczne**

**Badanie kliniczne z deferiprone u pacjentów z chorobą zwyrodnieniową układu nerwowego związanego z kinazą pantotenową (PKAN)**

**Ulotka informacyjna**

**FP7 (277984-2)**



## Czego dotyczy badanie?

Badanie dotyczy **PKAN - Choroby Zwyczajnej Układu Nerwowego związanego z Kinazą Pantotenową**, postacią **Choroby Zwyczajnej Układu Nerwowego z gromadzeniem żelaza (NBIA)**, spowodowaną zmianami w genie PANK-2. PKAN stanowi około 50% wszystkich przypadków NBIA. Zwykle może postępować nieustępliwie i bezlitośnie, poważnie upośledzając i utrudniając życie, dlatego nagląca jest potrzeba i konieczność zastosowania przyczynowej terapii mogącej zatrzymać lub przynajmniej zahamować przebieg choroby.

PKAN charakteryzuje się nieprawidłowo wysokim poziomem żelaza w zwojach podstawy. Nie wiadomo dokładnie dlaczego poziomy żelaza w mózgu u pacjentów z NBIA są wysokie, ale przypuszczalnie ma to działanie uszkodzające.

Celem tego badania klinicznego jest zbadanie czy chelatujący żelazo lek Deferiprone podawany doustnie może usuwać żelazo znajdujące się w mózgu. Badania specjalistyczne podczas badania klinicznego będą wyjaśniać czy Deferiprone ma wpływ na przebieg choroby.

Lek będzie testowany przez 18 miesięcy u 90 pacjentów. Badanie będzie prowadzone w pięciu ośrodkach: Monachium (Niemcy), Warszawa (Polska), Mediolan (Włochy), Newcastle (Wielka Brytania) i Oakland (Kalifornia w USA).

## Jaki to jest rodzaj badania?

Badanie to jest **losowe, z podwójną ślełą próbą, kontrolowane placebo**.

„**Kontrolowano placebo**” oznacza, że w kontekście badania, Deferiprone będzie porównywane z placebo. Placebo wygląda identycznie jak Deferiprone, ale nie zawiera żadnego czynnego składnika. Uczestnicy badania będą szansę dwa na trzy, że dostaną Deferiprone i jeden na trzech dostanie placebo. Wybór zostanie dokonany przez losowanie – randomizację.

„**Randomizacja**” jest wykonana zgodnie z listą wytwarzaną komputerowo. Każdy pacjent będzie przydzielony albo do grupy placebo lub Deferiprone zgodnie z tą listą. Koniecznym jest porównanie leku z grupą placebo dla pełnej oceny efektów i działania ubocznego Deferiprone.

„**Podwójna ślepa próba**” oznacza, że ani pacjent ani lekarz nie wiedzą w do której grupy zostanie włączony. Jest to konieczne dla obiektywnego zbierania wyników badania.

## Kto może wziąć udział w badaniu?

Uczestnicy badania w wieku od 4 lat do wieku dorosłego muszą chorować na chorobę PKAN, potwierdzoną badaniem genetycznym.

W celu uzyskania innych kryteriów włączenia/wyłączenia, prosimy o kontakt z twoim ośrodkiem badawczym.

## Co będzie działać się czasie badania?

Uczestnicy badania będą otrzymywali Deferiprone lub placebo przez 18 miesięcy w dziennej dawce, zawsze podzielonej dwa razy dziennie, połowę dostaną rano a połowę wieczorem. Pacjenci rozpoczną leczenie od dawki 10mg na kg dziennie, podzielonej na dwie dawki. Jeśli nie będzie problemów dawka będzie podwyższona do 20mg/kg a po sześciu tygodniach, a po sześciu kolejnych tygodniach do 30mg/kg dziennie do końca przebiegającego badania.

### Badania wykonywane:

U biorących udział w tym badaniu, muszą być wykonywane następujące badania:

Co?	Gdzie?	Kiedy?
<i>Wizyta skringowa</i> Wywiad, badanie przedmiotowe, próbki krwi i moczu, ocena dystonii i EKG dla stosownych badań,....	Ośrodek kliniczny TIRCON	Przed badaniem klinicznym
<i>Wizyta podstawowa</i> Pełne badanie fizykalne, próbki krwi i moczu, historia leczenia, MR, ocena dystonii, poruszanie, funkcje poznawcze, jakość życia i snu, funkcje ruchowe i stan emocjonalny, zapis wideo, przydzielenie Deferiprone,	Ośrodek kliniczny TIRCON	Na początku badania
<i>Kontakt telefoniczny</i>		Tydzień 1,2,3,4, i 5
<i>Próbki krwi dla oznaczenia liczby leukocytów</i> Każda wizyta potrwa ok.30 min.	U miejscowego lekarza lub miejscowym laboratorium	Co tydzień (każde 5-10 dni)
<i>Wizyta</i> (wywiad, badanie fizykalne, próbki krwi i moczu...)	Ośrodek kliniczny TIRCON	1,5 miesiąc
<i>Telefoniczny kontakt</i>	-	2 miesiąc
<i>Wizyta</i> (wywiad, badanie fizykalne, próbki krwi i oczu....)	Ośrodek kliniczny TIRCON	3 miesiąc
<i>Wizyta</i> (podobna jak wizyta podstawowa)	Ośrodek kliniczny TIRCON	6 i 12 miesiąc
<i>Telefoniczny kontakt</i>	-	9 i 15 miesiąc
<i>Wizyta końcowa</i> (podobna jak wizyta podstawowa)	Ośrodek kliniczny TIRCON	18 miesiąc
<i>Wizyta dla zakończenia badania</i> (składa się z wywiadu i pobrań próbek krwi)	Ośrodek kliniczny TIRCON	19 miesiąc, po

## Zwrot kosztów i koszty badania

Uczestnicy badania nie będą otrzymywać wynagrodzenia za udział w badaniu. Wydatki na podróż i dojazdy będą pokrywane przez ośrodek badawczy.

## Jakie są korzyści z udziału w badaniu?

Nie ma żadnej gwarancji, że pacjenci uzyskają jakiegokolwiek korzyści w tym badaniu. Aczkolwiek, uczestnicy badania są niezbędni dla lepszego zrozumienia skuteczności leku Deferiprone.

Oczekuje się, że u pacjentów, którzy będą stosowali Deferiprone bezpośrednio zmniejszy się ilość żelaza w mózgu. To powinno powodować zmniejszenie objawów NBIA jak dystonia i jakość życia.

Jeśli wyniki badania będą pozytywne, Apopharma zaproponuje Deferiprone w formie darowizny dla wszystkich uczestników badania.

## Jakie jest ryzyko udziału w badaniu?

Deferiprone jest lekkim badaniem. Informacje na temat bezpieczeństwa Deferiprone zostały zebrane od ponad 1000 pacjentów, lecz tylko kilku z nich miało NBIA. Możliwe działanie uboczne to:

- Zabarwienie czerwone moczu
- Nudności/wymioty
- Bóle stawów
- Bóle brzucha
- Wzrost ALAT (enzymu wątroby, który ocenia funkcję wątroby)
- Neutropenia (agranulocytoza/obniżenie białych ciałek krwi)
- Reakcje alergiczne
- Inne niespodziewane reakcje

## Z kim można skontaktować się aby uzyskać odpowiedzi na dalsze pytania?

Więcej dokładnych informacji o badaniu można będzie uzyskać w ośrodku badawczym w Warszawie:

Instytut Pomnik Centrum Zdrowia Dziecka  
Klinika Neurologii i Epileptologii  
Warszawa, 04-730, Aleja Dzieci Polskich 20  
Dr Tomasz Kmiec  
e-mail: t.kmiec@czd.pl, Telefon: 22 815 7797.