



Ensayo clínico CMS-001

Un ensayo clínico para pacientes con síndromes miasténicos congénitos (CMS)

Es posible que usted pueda participar en un nuevo ensayo clínico que evaluará un medicamento en fase de investigación para el tratamiento de los CMS.

¿POR QUÉ un ensayo clínico? Catalyst Pharmaceuticals y su médico están tratando de descubrir si el fosfato de amifampridina, un medicamento oral en fase de investigación, es seguro y eficaz para el tratamiento de las personas que padecen CMS. Ya se han realizado muchas otras pruebas con este medicamento pero, en EE. UU., una empresa debe ofrecer evidencia específica, proveniente de ensayos de este tipo, para obtener la aprobación de la FDA.

Cada ensayo clínico sigue un proceso extenso y cuidadosamente supervisado que se enfoca en la seguridad y la privacidad de las personas que participan.

Los CMS son una afección **rara**, por lo que este ensayo clínico brinda una oportunidad de tratamiento a todas las personas que reúnan las condiciones necesarias. La experiencia colectiva de todos aquellos que participen en el ensayo clínico se analizará para ver si ayuda a que se apruebe el medicamento.

¿QUÉ necesita saber usted?

- Podría estar en condiciones de participar si:
 - tiene 2 años o más;
 - tiene un peso corporal mayor o igual a 10 kg;
 - le han diagnosticado CMS con ciertos defectos confirmados genéticamente.
- Estudios para el ensayo clínico:
 - Estudios genéticos para aquellos participantes cuyo diagnóstico de CMS no haya sido confirmado genéticamente.
 - Otros estudios, como la medición del ritmo cardíaco (ECG), un estudio de los músculos (EMG), cuestionarios y otros estudios que el médico le explicará en más detalle.
- Duración del compromiso:
 - La participación en el ensayo se extenderá por 63 días, pero deberá visitar la clínica solo en determinadas oportunidades.

Una vez que el ensayo finalice, los participantes tendrán oportunidad de inscribirse en un Programa de acceso extendido para seguir recibiendo el medicamento.

¿QUÉ deberá hacer?

1. Traslado:

- Deberá trasladarse hasta el sitio del ensayo.
- Para ayudarle con el traslado, el patrocinador del ensayo ha contratado a la Organización Nacional de Trastornos Raros (NORD) para que coordine y cubra todos los costos relacionados con su traslado y el de su cuidador o acompañante.

2. El ensayo:

Se le solicitará su aprobación para participar mediante un documento firmado. Esto se conoce como consentimiento informado. Podrá retirarse del ensayo en cualquier momento. Esta investigación tiene dos etapas:

I. **Aptitud:** su médico determinará si usted reúne las condiciones necesarias para participar.

- El ensayo consistirá de varios exámenes clínicos.
 - o El médico realizará una evaluación inicial en el lugar del ensayo (una visita para determinar aptitud). Si cumple con las condiciones necesarias para participar, es posible que pueda volver a su casa al día siguiente con medicación para tomar durante las siguientes 4 semanas.

II. **Tratamiento:**

- Este es un ensayo cruzado, lo que significa que recibirá el medicamento activo y un placebo en diferentes momentos. Eventualmente terminará con el medicamento activo.
- Deberá regresar a la clínica la semana siguiente (el día 7), en la semana 3 (día 21) y en la semana 4 (día 29). En total, habrá 5 visitas a la clínica. Deberá permanecer en la clínica aproximadamente medio día.
- En la evaluación del día 1, se seleccionarán al azar ciertos pacientes que recibirán un placebo (una sustancia que no es el medicamento del ensayo pero tiene un aspecto similar). Esto se considera un retiro del medicamento y durará 8 días.
- Se realizará otra evaluación al día 21. En ese momento, los pacientes que habían recibido el placebo recibirán otra vez el medicamento del ensayo.
- Durante las primeras 4 semanas, deberá hablar telefónicamente con el médico sobre su evolución y el médico le indicará cómo ajustar la dosis del medicamento que recibe.
- Luego de las 4 semanas, debería regresar a la clínica para un seguimiento de su evolución. Si responde al tratamiento, continuaría en el ensayo (día 1).

3. Una vez que el ensayo termine, todos los participantes tendrán la oportunidad de inscribirse en un Programa de acceso extendido, que permite al médico seguir ofreciendo el medicamento a los participantes.

Si le interesa este ensayo, envíe un correo electrónico a EAP@catalystpharma.com, llame al 1-844-347-3277 o visite cualquiera de los siguientes sitios:

Children's Healthcare of Atlanta
Atlanta, Georgia 30342
Contacto: Schauna Gillam 404-785-8299
schauna.gillam@choa.org

Nationwide Children's Hospital
Columbus, Ohio 43205
Contacto: Alana Mahley 614-355-2606
alana.mahley@nationwidechildrens.org

Boston Children's Hospital
Boston, Massachusetts 02115
Contacto: Timothy Harrington 857-218-4677
timothy.harrington@childrens.harvard.edu

UCLA
Los Angeles, CA 90095
Contacto: Angela Ho, 310-825-3264
ALHo@mednet.ucla.edu

Departamento de Neurología Pediátrica
de Johns Hopkins
Baltimore, Maryland 21287
Contacto: Agnes King Rennie, CNA, MST
443-287-6294
aking2@jhmi.edu

Patrocinado por:

