



Introducción al ensayo clínico **FirST-4-LEMS**

SU PARTICIPACIÓN PUEDE AYUDAR A CAMBIAR LAS VIDAS DE LAS PERSONAS QUE PADECEN SÍNDROME MIASTÉNICO DE LAMBERT-EATON (LEMS).

*Como alguien que padece LEMS y toma fosfato de amifampridina, usted tiene la oportunidad de ayudar a AMPLIAR EL ACCESO AL MEDICAMENTO PARA TODAS LAS PERSONAS QUE PADECEN LEMS MEDIANTE SU PARTICIPACIÓN EN EL ENSAYO CLÍNICO **FirST-4-LEMS** (Firdapse Strength Trial for LEMS - Ensayo clínico de efectividad de Firdapse para el tratamiento del LEMS).*

- Su participación en el ensayo FirST-4-LEMS podría ayudar a otros debido a la investigación médica que se realiza. De hecho, todos los medicamentos recetados que alguna vez tomó se investigaron previamente en ensayos que fueron posibles gracias a la participación de voluntarios.
- Tendrá el apoyo de la persona que lo acompañe y la garantía del personal médico que lo supervisará en un ambiente seguro y confortable a lo largo del ensayo.

USTED PUEDE SER PARTE DEL PROCESO QUE PROCURA OBTENER LA APROBACIÓN DE LA FDA PARA EL FOSFATO DE AMIFAMPRIDINA Y ASÍ GARANTIZAR SU DISPONIBILIDAD A LARGO PLAZO PARA QUIENES PADECEN LEMS Y POSIBLEMENTE ALIVIAR SUS SÍNTOMAS.

EN EL INTERIOR: obtenga más información sobre cómo puede participar en el ensayo **FirST-4-LEMS**

SU PARTICIPACIÓN PUEDE MARCAR UNA GRAN DIFERENCIA PARA LAS PERSONAS QUE PADECEN LEMS.

*Dado que toma fosfato de amifampridina, es posible que cumpla con las condiciones necesarias para participar en el ensayo **FirST-4-LEMS**. El médico de EAP recomendará su participación. Póngase en contacto con él/ella si está interesado en participar.*

¿Qué es el ensayo **FirST-4-LEMS**?

El ensayo **FirST-4-LEMS** evalúa la eficacia del fosfato de amifampridina para controlar, reducir y/o eliminar los síntomas del LEMS. Es un ensayo clínico de "fase 3" y es necesario para obtener la aprobación de la FDA.

Su participación podría ayudar a las personas que padecen LEMS a acceder a un tratamiento diseñado para cumplir con los requisitos de la FDA y garantizar que el tratamiento esté disponible a largo plazo.

LOS RESULTADOS DEL ENSAYO FirST-4-LEMS SON UNA PARTE NECESARIA DEL PROCESO PARA OBTENER LA APROBACIÓN DE LA FDA Y MANTENER EL ACCESO A UN TRATAMIENTO EFECTIVO PARA LA COMUNIDAD DE PERSONAS QUE PADECEN LEMS.

¿Quiénes pueden participar en el ensayo **FirST-4-LEMS**?

Únicamente pueden participar los pacientes adultos con un diagnóstico confirmado de LEMS que actualmente toman fosfato de amifampridina.

¿Dónde se realizará el ensayo?

El ensayo **FirST-4-LEMS** se realizará en dos lugares: Miami y Los Ángeles. Los participantes se alojarán en un hotel confortable enfocado en el bienestar de los pacientes. El coordinador del ensayo proporcionará información sobre el alojamiento y demás detalles por separado.

Todos los exámenes y evaluaciones relacionados con el ensayo se realizarán en el centro de investigación o clínica de la universidad correspondiente.

¿Para qué se realiza el ensayo?

El ensayo es un requisito clínico adicional que la FDA ha pedido a Catalyst Pharmaceuticals con el fin de demostrar aun mejor que el medicamento que usted toma es efectivo para el tratamiento de los síntomas del LEMS. Por eso su participación es tan importante. Cuando concluya el ensayo, la FDA podría tener la información que necesita para aprobar el medicamento de manera que esté disponible a todas las personas que padecen LEMS en Estados Unidos.

¿Qué puedo esperar durante el ensayo **FirST-4-LEMS**?

Este es un ensayo corto (entre 5 y 12 días, más el tiempo de viaje desde y hacia el lugar del estudio) durante el cual se alojará en un hotel y deberá someterse a 3 o 4 exámenes clínicos en el centro médico. Las fechas son flexibles para adaptarse a su agenda y su disponibilidad. Los procedimientos del ensayo son limitados y todos los detalles de traslado y alojamiento se coordinarán.

Este es un ensayo de “reposo farmacológico”, en el que podría dejar de tomar fosfato de amifampridina durante solo 4 días consecutivos. A la mitad de los participantes se les retirará el medicamento y se les dará un placebo que tiene la misma apariencia. Su salud es nuestra principal inquietud, por lo que será controlado atentamente a lo largo del ensayo.

¿Qué ocurre durante los exámenes clínicos?

Ocurrirá lo siguiente:

- Pruebas de fuerza y de andar
- Preguntas sobre cómo se siente
- Muestras de orina
- Signos vitales
- Antecedentes médicos
- No se realizará un EMG
- Estudios opcionales para detectar cáncer de pulmón

¿Deberé firmar un documento de consentimiento informado para participar?

Sí, este documento es necesario para la participación en todos los ensayos clínicos. Lo recibirá del médico del ensayo y tendrá la oportunidad de leerlo y hacer preguntas. El médico también responderá todas las preguntas que pudiera tener.

¿Puedo llevar a mi cónyuge, un amigo u otro acompañante?

Sí, puede llevar a un acompañante para que le ayude durante el ensayo. Los gastos de traslado, alojamiento y comida de su acompañante también estarán cubiertos.

**SU PARTICIPACIÓN LE BRINDA LA OPORTUNIDAD DE MEJORAR
EL FUTURO DE TODAS LAS PERSONAS QUE PADECEN LEMS.**



Resumen del ensayo clínico **FirST-4-LEMS**

Afección médica bajo estudio: síndrome miasténico de Lambert-Eaton (LEMS). El objetivo del ensayo es determinar el nivel de control de los síntomas del LEMS que ofrece el tratamiento con fosfato de amifampridina.

Criterios de participación: pacientes adultos con un diagnóstico confirmado de LEMS que actualmente toman fosfato de amifampridina.

Beneficios para los participantes: todos los costos del tratamiento y participación (traslado, alojamiento, comida, etc.) están cubiertos; examen médico sin costo, estudio de corto plazo (**5 a 12 días**); acceso en todo momento a atención médica experta durante el ensayo.

Duración del compromiso: el ensayo **FirST-4-LEMS** se extenderá de manera continua durante un mínimo de 5 días y un máximo de 12 (más el tiempo de viaje al sitio del ensayo).

Centros del ensayo: Miami, Florida; Los Ángeles, California.

SU PARTICIPACIÓN EN ESTE IMPORTANTE ENSAYO CLÍNICO PODRÍA AYUDAR
A CAMBIAR EL FUTURO DE LA COMUNIDAD DE PERSONAS QUE PADECEN LEMS.

INFORMACIÓN DE CONTACTO:
EAP@catalystpharma.com
1-844-347-3277

El fosfato de amifampridina es un medicamento en fase de investigación y actualmente no está disponible comercialmente. El patrocinador del ensayo es Catalyst Pharmaceuticals.

© 2016 Catalyst Pharmaceuticals, Inc. CPP-16016B. Agosto de 2016.