

Was Sie über klinische Studien wissen sollten (Forts.)

Die Teilnahme an einer klinischen Studie ist vollkommen freiwillig, und Sie bzw. Ihr Kind können jederzeit die Teilnahme aus beliebigem Grund vorzeitig beenden. Vor der Teilnahme an einer klinischen Studie ist es wichtig, die möglichen Risiken und den möglichen Nutzen einer Teilnahme abzuwägen.

Das Studienteam wird Sie über die möglichen Risiken und Nutzen der Teilnahme an der Studie sowie über mögliche Nebenwirkungen informieren. Um eine fundierte Entscheidung treffen zu können, sammeln Sie so viele Informationen wie möglich und sprechen Sie mit Ihren Ärzten bzw. den Ärzten Ihres Kindes über alle Fragen, die Sie haben.

Während der Studie arbeiten Sie mit einem Studienteam zusammen, das aus Studienärzten, dem Studienpersonal und anderen Mitgliedern des Forschungspersonals bestehen kann.

Vielen Dank, dass Sie die BRAVE-Studie in Betracht ziehen.

Es ist uns ein Anliegen, unsere auf Inklusion und Zugehörigkeit ausgerichtete Unternehmenskultur, die ein Spiegelbild der Gemeinschaften ist, mit denen wir arbeiten, und der Patienten, die wir betreuen, weiter auszubauen.



BRAVE

In der BRAVE-Studie wird eine Behandlungsmöglichkeit für Friedreich-Ataxie untersucht.

**Wenn bei Ihrem Kind
Friedreich-Ataxie (FA)
diagnostiziert wurde, kann die
BRAVE-Studie für Ihr Kind
infrage kommen.**



Über die BRAVE-Studie

In der BRAVE-Studie wird beurteilt, wie sicher ein Studienmedikament ist und wie gut es bei der Behandlung von Friedreich-Ataxie (FA) bei Kindern im Alter von 2 bis 15 Jahren wirkt. Das Studienmedikament ist bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren die einzige zugelassene Behandlung für FA.

Das Studienmedikament ist eine Kapsel zum Einnehmen und wird mit einem Scheinmedikament (Placebo) verglichen. Ein Placebo sieht genauso aus wie das Studienmedikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Ihr Kind wird per Zufallsverfahren entweder der einmal täglichen Einnahme des Studienmedikaments oder des Placebos zugeteilt.

Die Wahrscheinlichkeit, dass Ihr Kind das Studienmedikament erhält, ist höher als die Wahrscheinlichkeit, dass es das Placebo erhält. Weder Sie, Ihr Kind noch das Studienteam wissen, welche Behandlung Ihrem Kind zugeteilt wurde. In einem Notfall kann das Studienteam das jedoch schnell herausfinden.

Studiendesign

Die BRAVE-Studie kann bis zu drei Jahre dauern und besteht aus zwei Teilen.

Teil 1

- **Voruntersuchung (28 Tage):** Das Studienteam stellt fest, ob Ihr Kind an der Studie teilnehmen kann. Es wird ein Besuchstermin im Studienzentrum stattfinden.
- **Behandlung (rund ein Jahr):** Ihr Kind wird per Zufallsverfahren dem Erhalt des Studienmedikaments oder des Placebos als Kapsel zum Einnehmen zugewiesen. Die Kapsel muss einmal täglich mithilfe eines Elternteils oder eines Betreuers eingenommen werden. Während des Behandlungszeitraums finden sechs Besuchstermine im Studienzentrum, ein Besuchstermin zu Hause (oder im Studienzentrum) und ein Telefonanruf statt. Für diejenigen, die nicht an Teil 2 teilnehmen, findet rund einen Monat nach dem letzten Besuchstermin im Studienzentrum auch ein Telefonanruf zur Nachbeobachtung statt. Bei Bedarf kann das Studienteam einen zusätzlichen Besuchstermin für Ihr Kind ansetzen.

Wenn Ihr Kind Teil 1 der Studie abschließt, kann es möglicherweise in Teil 2 aufgenommen werden. Alle Teilnehmer in Teil 2 erhalten das Studienmedikament, selbst wenn sie in Teil 1 das Placebo erhalten haben.

Teil 2

- **Offene Verlängerung (rund zwei Jahre):** Ihr Kind erhält garantiert das Studienmedikament. In den ersten drei Monaten finden zwei Besuchstermine im Studienzentrum, ein Besuchstermin zu Hause (oder im Studienzentrum) und ein Telefonanruf statt. Im Anschluss finden etwa alle sechs Monate Besuchstermine statt, bis die Studie endet. Rund einen Monat nach der letzten Dosis des Studienmedikaments findet auch ein Telefonanruf zur Nachbeobachtung statt. Bei Bedarf kann das Studienteam einen zusätzlichen Besuchstermin für Ihr Kind ansetzen.

Besuchstermine

In allen Studienabschnitten führt das Studienteam standardmäßige Tests, Untersuchungen und Beurteilungen durch, um die Gesundheit Ihres Kindes zu beurteilen und festzustellen, ob die Ihrem Kind zugewiesene Studienbehandlung wirkt.

Zu den Tests, Untersuchungen und Beurteilungen gehören:

- Beurteilungen der modifizierten Skala zur Bewertung von Friedreich-Ataxie (Modified Friedreich Ataxia Rating Scale, mFARS) zur Messung des Fortschreitens der FA Ihres Kindes
- Abnahme/Abgabe von Blut- und Urinproben
- Messungen von Blutdruck, Puls und Körpertemperatur
- Messungen von Körpergröße und -gewicht
- Schwangerschaftstest (sofern zutreffend)
- Fragebögen zum Befinden Ihres Kindes
- Echokardiogramme (ECHO) und Elektrokardiogramme (EKG) zur Untersuchung, wie gut das Herz Ihres Kindes arbeitet

Diese Tests, Untersuchungen und Beurteilungen sind in klinischen Studien üblich und werden kostenlos durchgeführt. Das Studienteam wird während der gesamten Dauer der BRAVE-Studie den Gesundheitszustand Ihres Kindes überwachen. Ihr Kind erhält die gleiche Versorgung, unabhängig davon, ob es das Studienmedikament oder Placebo erhält.

Über das Studienmedikament

Das Studienmedikament heißt omaveloxolone und wurde zur Behandlung von FA bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren zugelassen. In der BRAVE-Studie wird die Sicherheit von omaveloxolone beurteilt, und wie gut es zur Behandlung von FA bei Kindern im Alter von 2 bis 15 Jahren wirkt.

Das Studienmedikament oder Placebo kann zum Einnehmen verabreicht werden oder geöffnet werden, wenn Ihr Kind nicht in der Lage ist, ganze Kapseln zu schlucken. Nach dem Öffnen kann der Inhalt auf Apfelmus oder ein anderes zulässiges Nahrungsmittel in Absprache mit dem Arzt Ihres Kindes gestreut und dann verrührt werden, bis es untergemischt ist.

Studienkosten

Ihnen entstehen keine Kosten für Tests, Untersuchungen oder Verfahren, die im Rahmen der klinischen Studie durchgeführt werden. Bei Bedarf kann eine Reiseunterstützung verfügbar sein.

Erfahren Sie, ob die Studie für Ihr Kind infrage kommt.

Wenn Sie an einer Teilnahme Ihres Kindes an der BRAVE-Studie interessiert sind, muss Folgendes auf Ihr Kind zutreffen:

- zwischen 2 und 15 Jahre alt sein
- eine FA-Diagnose haben
- keinen unkontrollierten Diabetes haben
- keine Lebererkrankung in der Vorgeschichte haben

Es gibt weitere Anforderungen für die Teilnahme an der Studie, die Ihnen vom Studienteam erklärt werden können.

Was Sie über klinische Studien wissen sollten

In klinischen Studien sollen bestimmte Fragen dazu beantwortet werden, wie Medikamente eventuell wirken. Diese Studien sind die Art und Weise, wie neue Behandlungen zugelassen werden, um sie für Patienten zugänglich zu machen, die sie in Zukunft benötigen. Sie sollten sich vollständig informiert fühlen, was Sie bei einer Teilnahme an einer klinischen Studie erwartet.

Studienärzte führen klinische Studien durch, um:

- bestimmte Gesundheitsfragen zu beantworten
- mehr über die Wirkung und Sicherheit eines Studienmedikaments zu erfahren

Es wurden Bestimmungen und Richtlinien entwickelt, um die Rechte, die Sicherheit und das Wohlbefinden der Teilnehmer an klinischen Studien zu schützen und um sicherzustellen, dass diese Studien gemäß strengen wissenschaftlichen und ethischen Prinzipien durchgeführt werden. Bevor eine klinische Studie beginnen kann, muss eine unabhängige Ethikkommission (EK) die Studie überprüfen und zustimmend bewerten.

