

Protokolresumé

for klinisk forsøg

Protokollen for et klinisk forsøg er et dokument, der forklarer, hvorfor og hvordan et forsøg vil blive udført.

Et forsøg, der udføres for første gang hos mennesker, med S233107 hos deltagere med spinocerebellar ataksi type 3

Fuld videnskabelig titel: Et randomiseret, dobbeltblindet, placebokontrolleret fase 1b/2a-multicenterforsøg, der udføres for første gang hos mennesker, med flere stigende doser (del 1) efterfulgt af en åben forlængelse (del 2) til vurdering af sikkerheden, tolerabiliteten og farmakokinetikken af intratekalt administreret S233107 hos deltagere med spinocerebellar ataksi type 3 (EU-forsøgsnummer: 2025-525111-17-00)

1 Hvorfor er dette forsøg

Dette forsøg er nødvendigt for at finde en specifik behandling for en degenerativ sygdom, der hedder spinocerebellar ataksi type 3 (SCA3). Symptomer på ataksi er usikker gang, balanceproblemer og taleproblemer.

SCA3 er forårsaget af ændringer i et gen, der hedder ATXN3. Disse ændringer fører til en fejl i et protein, der hedder Ataxin-3, som forstyrrer hjernecellernes funktion.

Forsøgsmedicinen, S233107, er designet til at reducere mængden af den defekte version af Ataxin-3-proteinet, der produceres af kroppen. Forskerne mener, at S233107 kan hjælpe med at behandle patienter med SCA3. Dette forsøg er vigtigt, fordi det kan føre til en behandling, der forhindrer forværring af sygdommen hos patienter med SCA3.

2 Hvad leder vi hovedsageligt efter?

Hvad er forsøgets hovedformål?

Hovedformålet med forsøget er at finde ud af, om S233107 er sikkert, og hvor godt deltagere med SCA3 tåler at modtage flere stigende doser af det.

Hvad er hovedforsøgets endepunkt?

Et forsøgs endepunkt er det kriterium, der bruges til at afgøre, hvorvidt et forsøgsmål er opnået. De vigtigste endepunkter i dette forsøg er:

- Antallet af uønskede sundhedsmæssige hændelser, der forekommer under forsøget, og hvor alvorlige de er.
- Antallet af unormale fund i hjerteundersøgelser (EKG'er), blod- og rygmarsvæskeprøver samt vitale værdier (såsom blodtryk og puls), kropsvægt og vurderinger af selvmordsrisiko.

3 Hvad med de andre formål med forsøget?

Hvad er forsøgets andre formål?

Det andet formål med dette forsøg er at forstå, hvordan kroppen omsætter S233107. Forskere kalder dette farmakokinetik (PK).

Hvad er de andre forsøgsendepunkter?

Forsøgets andre endepunkter er farmakokinetiske målinger, herunder niveauerne af S233107 i rygmarsvæsken og blodet på forskellige tidspunkter.

4 Hvem deltager i forsøget?

Der forventes cirka 62 deltagere i forsøget.

For at deltage skal deltagerne:

- Have diagnosen SCA3, som er bekræftet ved en genetisk test.
- Være voksen i alderen 18 til 65 år.
- Være i stand til at gå selv uden støtte.

Patienterne kan ikke deltage, hvis de lider af andre former for hjernesygdomme, har væsentligt nedsat nyrefunktion eller har haft eller har en betydelig selvmordsrisiko.

5 Hvordan udføres forsøget?

Forsøget har to dele: Del 1 og del 2.

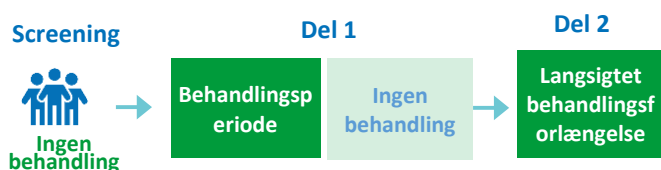
Del 1 er "dobbelblindet", hvilket betyder, at hverken deltagerne eller forskningslægerne ved, hvilken behandling der tages. Dette gøres for at undgå enhver påvirkning af resultaterne. Del 2 er "åben", hvilket betyder, at både deltagerne og forskningslægerne ved, hvilken behandling der tages.

Der vil være en screeningperiode før del 1. I løbet af denne tid vil lægerne kontrollere, om deltagerne opfylder alle kravene for at deltage i forsøget.

Del 1: Små grupper af deltagere vil modtage forskellige doser af S233107 eller placebo. Et placebo ligner S233107, men indeholder ikke nogen rigtig medicin. Den første gruppe modtager den laveste dosis, derefter modtager hver ny gruppe en højere dosis. Denne del kaldes "randomiseret", hvilket betyder, at deltagerne placeres i en gruppe, der tilfældigt modtager enten S233107 eller placebo.

Del 2: Deltagere, der gennemfører del 1, vil modtage S233107 indtil afslutningen af forsøget. Der er ingen placebo i denne del. Deltagerne vil fortsat blive tjekket regelmæssigt for eventuelle uønskede sundhedsmæssige hændelser.

Forsøgsdesignet vises på billedet nedenfor:



6 Hvilke behandlinger og undersøgelser anvendes der i forsøget?

Deltagerne vil modtage S233107 eller placebo. S233107 eller placebo vil blive givet som en injektion i rygmarvsvæsken gennem en nål i lænden (lumbalpunktur).

Deltagerne skal se forsøgslægen regelmæssigt. Under besøgene indsamler lægen oplysninger om deltagerens helbred. Deltagerne vil afgive blod-, urin- og rygmarvsvæskeprøver og gennemgå undersøgelser for at se, hvordan hjernen, rygsøjlen, nerverne og kroppen fungerer (neurologiske og fysiske undersøgelser). De vil få foretaget undersøgelser for at registrere hjertets elektriske aktivitet og scanninger af hjernen. Deltagerne skal også bære en enhed på håndleddet og anklen for at måle forskellige aspekter af, hvordan en person går og holder balancen.

7 Hvad er de mulige fordele og risici?

Deltagerens sygdom vil måske eller måske ikke blive bedre med forsøgsmedicinen. Deltagerne vil modtage tæt lægelig opfølgning. Resultaterne af dette forsøg vil hjælpe forskerne med at lære mere om forsøgsmedicinen. Forsøg som dette kan i fremtiden føre til en behandling, der forhindrer forværring af sygdommen for mennesker med lignende sygdomme.

Forsøget er designet til at være sikkert, med strenge sikkerhedsregler og regelmæssige kontrolbesøg. Der kan opleves ubehag under lumbalpunkturen og de planlagte undersøgelser (blodprøvetagning, scanning og registrering af hjertets elektriske aktivitet). Som med al medicin kan behandling med S233107 forårsage bivirkninger. Der vil blive gjort alt for at undgå og behandle bivirkninger, hvis de forekommer.

Dette er første gang, S233107 gives til mennesker, og der kan være risici, som vi endnu ikke kender til. Forsøgslægerne vil fortælle deltagerne om de kendte og mulige risici og bivirkninger ved S233107.

Før deltagerne tilmelder sig forsøget, vil de modtage et informeret samtykkedokument, og de vil have mulighed for at stille spørgsmål og diskutere eventuelle bekymringer med deres sundhedsperson. Det informerede samtykkedokument vil forklare alle de kendte fordele, risici og bivirkninger. Det er et dokument, der giver folk de oplysninger, de skal bruge for at beslutte, om de vil deltage i forsøget.