

La mia privacy sarà protetta?

Tutte le informazioni personali e mediche saranno mantenute strettamente riservate. Le informazioni sulla sua salute durante la fase di arruolamento agli studi HERCULES e ATLAS saranno mantenute anonime e non verranno utilizzate informazioni in grado di identificarla. Per ulteriori informazioni su come verrà protetta la sua privacy, consulti il modulo di consenso informato relativo allo studio.



Se ha domande sullo studio, si rivolga al medico dello studio.

Nome del medico dello studio HERCULES:

Nome del coordinatore dello studio:

Numero di telefono dell'ambulatorio:

Scansioni questo codice con un lettore QR sul suo smartphone per andare all'indirizzo **www.MyotonicDystrophyStudy.com**, consultare ulteriori informazioni e verificare la sua idoneità.



Studio HERCULES

Per le persone con distrofia miotonica di tipo 1 o 2 (rispettivamente, DM1 o DM2)



Opuscolo
informativo
per il paziente

Cos'è HERCULES?

HERCULES è uno studio di ricerca clinica volto a valutare se un farmaco sperimentale, chiamato mexiletina a rilascio prolungato (PR), è sicuro ed efficace nell'alleviare la rigidità muscolare e nel migliorare l'attività quotidiana e la qualità della vita nelle persone con diagnosi di distrofia miotonica di tipo 1 o di tipo 2 (DM1 o DM2, rispettivamente).

Lo studio comprenderà un totale di 96 pazienti in diversi Paesi tra l'Europa e il Regno Unito.

Informazioni sulla distrofia miotonica

La distrofia miotonica è una condizione genetica che provoca progressiva debolezza muscolare e miotonia, ovvero l'incapacità di rilassare i muscoli dopo la loro contrazione.

Attualmente non esistono cure o trattamenti genetici per i disturbi miotonici. Mexiletina (NaMuscla®) è stata approvata per alleviare i sintomi della miotonia negli adulti con disturbi miotonici non distrofici (NDM), migliorando di conseguenza la qualità della vita. È un trattamento sicuro ed efficace.

Sebbene la mexiletina sia approvata, le informazioni sulla sua sicurezza ed efficacia nelle persone con DM1 e DM2 sono ancora limitate. Lo studio HERCULES valuterà l'impatto della mexiletina PR sulla qualità della vita nelle persone affette da miotonia.

Chi può partecipare?

Lei potrebbe partecipare allo studio HERCULES se:

- ha almeno 16 anni*
- ha una diagnosi di DM1 o DM2 genetica

**I partecipanti di età inferiore a 18 anni dovranno ricevere l'autorizzazione alla partecipazione da parte di un adulto responsabile.*

Cosa comporta la partecipazione allo studio?

In caso di idoneità e se accetta di partecipare allo studio, riceverà il farmaco sperimentale (mexiletina PR) o un placebo (un trattamento senza principio attivo) secondo una scelta casuale. Ha la stessa possibilità di ricevere mexiletina PR o un placebo. HERCULES è uno studio in cieco, cioè né lei né il medico dello studio saprete quale trattamento sta ricevendo.

I partecipanti assumeranno mexiletina PR o placebo per 6 mesi per via orale. I partecipanti avranno quindi la possibilità di partecipare a uno studio di follow-up, chiamato ATLAS, per altri 18 mesi.

Nello studio ATLAS, tutti i partecipanti riceveranno il trattamento con mexiletina PR e avranno la possibilità di sottoporsi a valutazioni complete della sicurezza per l'intera durata della partecipazione allo studio. Lo studio ATLAS valuterà la sicurezza a lungo termine e l'efficacia di mexiletina PR. La salute e la sicurezza dei pazienti saranno monitorate attentamente durante entrambi gli studi.

Durante la sua partecipazione allo studio HERCULES, le verrà richiesto di presentarti a 6 appuntamenti e rispondere a 2 telefonate con il team dello studio.

Durante le visite dello studio, il team dello studio:



le chiederà informazioni sul suo stato di salute e su come si sente;



condurrà gli esami relativi allo studio;



eseguirà analisi di sangue e urine;



le chiederà di compilare questionari sui sintomi;



le consegnerà il farmaco dello studio e le istruzioni per la sua assunzione nonché per monitorare il suo impiego.

Per i pazienti idonei, esami e farmaci correlati allo studio saranno gratuiti.

La sua partecipazione a entrambi gli studi è totalmente volontaria. Può ritirarsi in qualsiasi momento, senza indicarne le ragioni e senza che questo pregiudichi le cure mediche che riceve o i suoi diritti legali. Può discutere delle cure mediche regolari con il medico dello studio.

Perché partecipare?

Sebbene gli esiti dello studio non siano noti, lei potrebbe ottenere un potenziale miglioramento del suo stato di salute. La mexiletina è stata utilizzata per diversi decenni come trattamento antimiotonico ed è considerata per il trattamento della miotonia.

Inoltre, partecipando a questo studio, contribuirà al progresso delle conoscenze mediche ed eventualmente a migliorare i trattamenti per lei e le altre persone in futuro.

Gli studi HERCULES e ATLAS forniranno informazioni sulla sicurezza e sull'efficacia della formulazione PR della mexiletina nelle persone affette da DM1 e DM2.

Cosa si intende per modulo di consenso informato?

Il modulo di consenso informato descrive lo studio e gli eventuali rischi o benefici potenziali derivanti dalla partecipazione. Il team dello studio risponderà a tutte le sue domande. Firmando il modulo, acconsente a partecipare allo studio.