

Hvordan vil mine personoplysninger blive beskyttet?

Alle person- og helbredsoplysninger behandles strengt fortroligt.

Oplysninger om dit helbred, mens du deltager i HERCULES, vil blive anonymiseret, og oplysninger, der kan identificere dig, vil ikke blive brugt.

Du kan finde flere oplysninger om, hvordan dine personoplysninger bliver beskyttet, i den forsøgsrelaterede deltagerinformation og samtykkeerklæring.

Hvad er en deltagerinformation og samtykkeerklæring?

I deltagerinformationen og samtykkeerklæringen beskrives forsøget og eventuelle potentielle risici eller fordele ved at deltage. Forsøgsteamet vil besvare alle de spørgsmål, du måtte have. Ved at underskrive samtykkeerklæringen indvilliger du i at deltage i forsøget.



Hvis du har spørgsmål om forsøget, bedes du tale med forsøgslægen.

HERCULES-lægens navn:

Forsøgskoordinatorens navn:

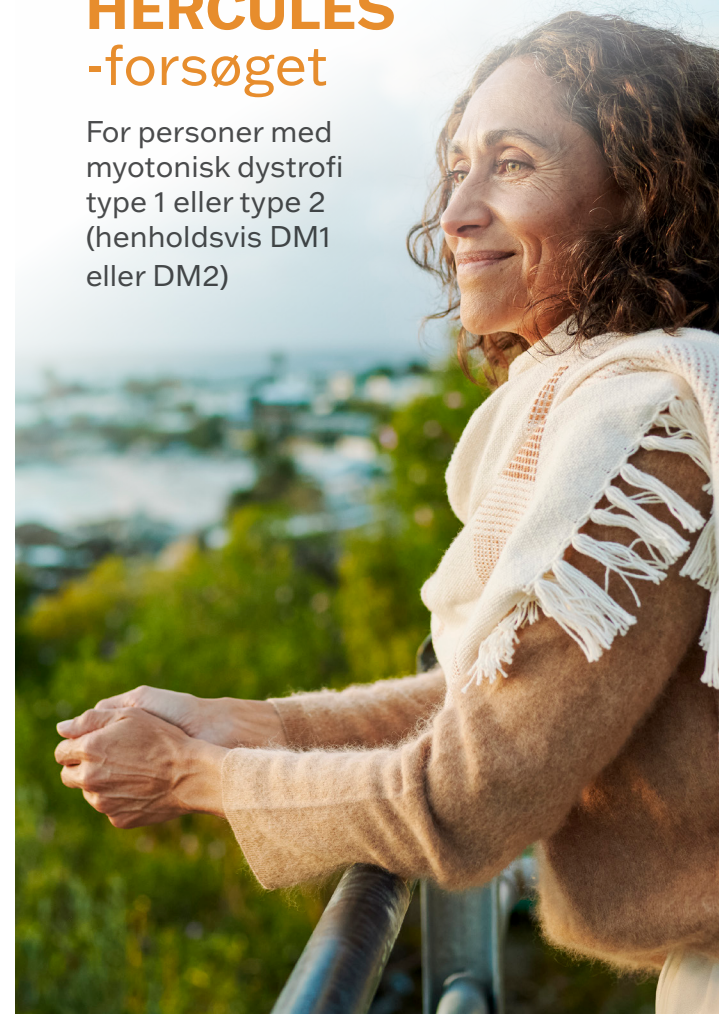
Forsøgscentrets telefonnummer:

Scan denne kode med en QR-læser på din smartphone for at gå ind på **www.MyotonicDystrophyStudy.com** og finde flere oplysninger og se, om du er egnet til at deltage.



HERCULES -forsøget

For personer med myotonisk dystrofi type 1 eller type 2 (henholdsvis DM1 eller DM2)



Informationsbrochure
til patienter

Hvad er HERCULES?

HERCULES er et klinisk forsøg, der evaluerer sikkerheds- og effektivitetsprofilen af et forsøgslægemiddel, kaldet mexiletin PR (mexiletin med forlænget frigivelse), til lindring af muskelstivhed og forsinket afslapning (myotoni). Denne behandling har til formål at lette dagligdagsaktiviteter og forbedre livskvaliteten hos personer, som er diagnosticeret med myotonisk dystrofi type 1 eller type 2 (henholdsvis DM1 eller DM2).

Forsøget vil omfatte i alt 96 patienter på forskellige hospitaler ("forsøgscentre") i forskellige lande i Europa (herunder Storbritannien). Læs mere her: <https://myotonicdystrophystudy.com>.

Om myotonisk dystrofi

Myotonisk dystrofi (dystrofisk myotoni eller DM) er en arvelig neuromuskulær sygdom, som forårsager tiltagende muskelsvaghed, muskelsvind, muskelstivhed og forsinket afslapning (myotoni). På nuværende tidspunkt kan myotoniske sygdomme ikke helbredes. Genetisk behandling er heller ikke mulig. Mexiletin (NaMuscla®) er allerede godkendt (som kapsel) i flere europæiske lande til lindring af symptomerne på myotoni hos voksne med ikke-dystrofiske myotoniske sygdomme (NDM). Det har en veletableret sikkerheds- og effektivitetsprofil.

Selvom mexiletin er godkendt til behandling af NDM, er oplysningerne om dets sikkerhed og effektivitet hos personer, der lever med DM1 og DM2, fortsat begrænsede.

I HERCULES vurderes det, hvordan mexiletin PR påvirker livskvaliteten for DM1- og DM2-patienter med myotoni.

Hvem kan deltage?

Du kan muligvis deltage i HERCULES-forsøget, hvis du er:

- Mindst 16 år gammel*
- Genetisk diagnosticeret med DM1 eller DM2
- Vejer 45 kg eller mere

- Kan gå 10 meter selv (med en stok, rollator eller ortoser, hvis det er nødvendigt)
- Ikke er gravid

**Hvis du er under 18 år, kræves der godkendelse fra en ansvarlig voksen.*

Hvad indebærer det at deltage?

Hvis du er egnet og beslutter dig for at deltage i HERCULES-forsøget, vil du blive tilfældigt udvalgt til at modtage enten forsøgslægemidlet (mexiletin PR) eller placebo (en behandling uden aktivt indholdsstof). Du har lige stor sandsynlighed for at modtage enten mexiletin PR eller placebo. HERCULES er et blindet forsøg, hvilket betyder, at hverken du eller din forsøgslæge vil vide, hvilken behandling du får. Deltagerne skal enten tage mexiletin PR eller placebo i 6 måneder oralt (gennem munden). Du vil af hensyn til dit helbred og din sikkerhed vil blive overvåget nøje gennem forsøget. Du vil blive bedt om at deltage i seks personlige aftaler og to telefonopkald med forsøgsteamet.

Under forsøgsbesøgene vil forsøgsteamet:

-  Stille dig spørgsmål om din helbredstilstand og om, hvordan du har haft det
-  Udføre forsøgsrelaterede undersøgelser
-  Undersøge dit blod og din urin
-  Bede dig om at besvare spørgeskemaer om dine symptomer
-  Udlevere forsøgslægemiddel til dig og instruere dig i, hvordan du tager og holder styr på din brug af forsøgslægemidlet

Når du har gennemført HERCULES-forsøget, har du mulighed for at deltage i det opfølgende ATLAS-forsøg. Din forsøgslæge vil fortælle dig om dette, hvis du er interesseret.

Fordele og risici ved at deltage

Egnede patienter skal ikke betale noget for forsøgsrelaterede undersøgelser og forsøgsrelateret medicin.

Det er helt frivilligt at deltage i begge forsøg. Du kan når forlade forsøget når som helst uden at give nogen grund, og uden at din medicinske behandling eller dine juridiske rettigheder bliver påvirket. Du kan tale med forsøgslægen om almindelig medicinsk behandling.

Vi kender ikke forsøgresultaterne, men det er muligt, at deltagelse vil have en gavnlig virkning på dit helbred. Mexiletin har været brugt som antimyotonisk behandling i flere årtier, og det overvejes til behandling af myotoni.

Ved at deltage bidrager du også til at fremme den medicinske viden og potentielt til at forbedre behandlinger til dig selv og andre i fremtiden.

HERCULES vil bidrage til at opnå viden om sikkerheden og effektiviteten af mexiletin PR hos personer med DM1 og DM2.

Efter afslutning af HERCULES-forsøget kan deltagerne deltage i opfølgningsforsøget ATLAS. ATLAS er et åbent forsøg, hvor deltagerne vil modtage mexiletin i en formulering med forlænget frigivelse.

Prof. Andreas Hahn, professor i pædiatri
Afdeling for børneneurologi, UKGM
Universitetshospital Giessen, Tyskland:

"Ved at deltage i HERCULES-forsøget hjælper du med at fremme forskning, der kan give bedre behandlingsmuligheder for personer, der lever med myotonisk dystrofi. Din deltagelse kan gøre en betydningsfuld forskel i forståelsen af denne tilstand og støtte fremtidige behandlinger for DM-fællesskabet."

Hjælp til transport

De fleste af de deltagende forsøgscentre tilbyder en service, der kan hjælpe dig med transport til og fra hospitalet i forbindelse med forsøgsbesøg, hvis det er nødvendigt.