

¿Cómo se protegerá mi privacidad?

Se mantendrá estrictamente la confidencialidad de toda la información personal y médica.

La información sobre su estado de salud mientras esté inscrito en HERCULES seguirá siendo anónima y no se utilizará ningún dato que le identifique.

Para obtener más información sobre cómo se protegerá su privacidad, consulte el formulario de consentimiento informado (FCI) relacionado con el estudio.

¿Qué es un formulario de consentimiento informado (FCI)?

Un formulario de consentimiento informado (FCI) describe un estudio y los posibles riesgos que implica participar en él. El equipo del estudio resolverá todas las dudas que le puedan surgir. Al firmar el FCI, acepta participar en el estudio.



Si tiene dudas sobre el estudio, consúltelas con el médico del estudio.

Nombre del médico del estudio HERCULES:

Nombre del coordinador del estudio:

Número de teléfono de la consulta:

Escanee este código con un lector de QR en su smartphone y visite **www.MyotonicDystrophyStudy.com** para obtener más información y comprobar si reúne los requisitos para participar.



Estudio HERCULES

Para personas con distrofia miotónica de tipo 1 o tipo 2 (DM1 o DM2, respectivamente)



Folleto
informativo
para el paciente

¿Qué es HERCULES?

HERCULES es un estudio clínico que evalúa la seguridad y eficacia de un medicamento en fase de investigación, denominado mexiletina de liberación prolongada (LP), para aliviar la rigidez muscular y la relajación retardada (miotonía). Este tratamiento se ha diseñado para facilitar las actividades cotidianas y mejorar la calidad de vida en personas diagnosticadas con distrofia miotónica de tipo 1 o tipo 2 (DM1 o DM2, respectivamente).

El estudio contará con un total de 96 pacientes de diversos hospitales («centros de estudio») en diferentes países de Europa (incluido el Reino Unido). Más información en: <https://myotonicdystrophystudy.com>.

Acerca de la distrofia miotónica

La distrofia miotónica (miotonía distrófica o DM) es una enfermedad neuromuscular hereditaria que causa debilidad muscular progresiva, atrofia muscular, rigidez muscular y relajación retardada (miotonía). En la actualidad, no existe cura ni tratamiento genético para los trastornos miotónicos. La mexiletina (NaMuscla®) se ha aprobado ya (en cápsula) en varios países europeos para aliviar los síntomas de la miotonía en adultos con miotonías no distróficas (MND). Cuenta con un perfil de seguridad y eficacia bien establecido.

Aunque la mexiletina se ha aprobado para tratar las MND, la información sobre su seguridad y eficacia en personas con DM1 y DM2 sigue siendo limitada.

HERCULES evaluará cómo la mexiletina de liberación prolongada influye en la calidad de vida de los pacientes con DM1 y DM2 que padecen miotonía.

¿Quién puede participar?

Puede participar en el estudio HERCULES si reúne estos requisitos:

- tiene 16 años o más*;
- se le ha diagnosticado DM1 o DM2 mediante un estudio genético;
- pesa más de 45 kg;
- puede caminar de manera independiente 10 metros (con un bastón, andador u órtesis, si es necesario);
- no está embarazada.

*Los menores de 18 años necesitarán la aprobación de un adulto a su cargo.

¿En qué consistirá mi participación?

Si reúne los requisitos para participar en el estudio HERCULES, se le seleccionará de forma aleatoria para recibir el medicamento en fase de investigación (mexiletina de liberación prolongada) o un placebo (un tratamiento sin principio activo). Tendrá las mismas posibilidades de recibir mexiletina de liberación prolongada que placebo. HERCULES es un estudio enmascarado, por lo que ni usted ni el médico del estudio sabrán qué tratamiento está recibiendo. Los participantes tomarán mexiletina de liberación prolongada o placebo por vía oral (por la boca) durante 6 meses. Se supervisará de cerca su salud y seguridad a lo largo de todo el estudio. Se le pedirá que acuda a seis citas presenciales y atienda dos llamadas telefónicas con el equipo del estudio.

Durante las visitas del estudio, el equipo del estudio:

-  Le preguntará por su estado de salud y cómo se ha sentido
-  Realizará exploraciones relacionadas con el estudio
-  Le realizará análisis de sangre y de orina
-  Le pedirá que rellene cuestionarios sobre sus síntomas
-  Le proporcionará el medicamento del estudio y le indicará cómo tomarlo y hacer un seguimiento del uso de dicho medicamento

Cuando finalice el estudio HERCULES, tendrá la opción de participar en el estudio de seguimiento ATLAS. Su médico del estudio le dará más información si le interesa.

¿Por qué debería participar?

Los pacientes que cumplan los requisitos se someterán a exploraciones y recibirán la medicación relacionadas con el estudio sin coste alguno. La participación es totalmente voluntaria. Puede abandonar el estudio con total libertad y en cualquier momento sin necesidad de exponer sus motivos y sin que ello afecte a su asistencia médica o a sus derechos legales. Puede hablar sobre la asistencia médica habitual con el médico del estudio.

Aunque no se garantiza que la participación en este estudio tenga unos resultados positivos, es posible que su salud mejore. La mexiletina se utiliza como tratamiento antimiotónico desde hace varias décadas y se considera para el tratamiento de la miotonía.

Además, al participar en este estudio contribuirá al avance de los conocimientos médicos y podría ayudar a mejorar los tratamientos para usted y para otras personas en el futuro.

HERCULES proporcionará información sobre la seguridad y la eficacia de la formulación de la mexiletina de liberación prolongada en personas con DM1 y DM2.

Una vez finalizado el estudio HERCULES, los participantes podrán incorporarse al estudio de seguimiento ATLAS. ATLAS es un estudio abierto en el que los participantes recibirán mexiletina en una formulación de liberación prolongada.

Prof. Andreas Hahn, Profesor de Pediatría Departamento de Neurología pediátrica, Hospital Universitario UKGM de Giessen (Alemania): «Al participar en el estudio HERCULES, contribuye a impulsar la investigación que podría dar lugar a mejores opciones de tratamiento para las personas que padecen distrofia miotónica. Su participación puede marcar una diferencia significativa para comprender esta enfermedad y desarrollar futuras terapias para la comunidad de personas con DM».

Ayuda con los preparativos del viaje

En la mayoría de los centros que participan en el estudio, hay un servicio de asistencia disponible para ayudarle con los preparativos del viaje de ida y vuelta al hospital para las visitas del estudio, si fuera necesario.