

Come sarà protetta la mia privacy?

Tutte le informazioni personali e mediche saranno mantenute strettamente riservate.

Le informazioni sulla sua salute durante la fase di arruolamento allo studio HERCULES 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.

Che cos'è un modulo di consenso informato?

Il modulo di consenso informato descrive lo studio HERCULES e i potenziali rischi e benefici della partecipazione. Il team dello studio risponderà a qualsiasi domanda lei possa avere. Firmando il modulo di consenso informato, lei accetta di partecipare 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 clinico volto a valutare il profilo di sicurezza ed efficacia di un farmaco sperimentale, chiamato mexiletina a rilascio prolungato (PR), nell'alleviare la rigidità muscolare e il ritardo del rilassamento (miotonia). Questo trattamento mira a supportare le attività quotidiane e la qualità della vita nelle persone con diagnosi di distrofia miotonica di tipo 1 o di tipo 2 (rispettivamente DM1 o DM2).

Lo studio comprenderà un totale di 96 pazienti in diversi ospedali ("centri dello studio") situati in vari Paesi europei (incluso il Regno Unito). Scopri di più su: <https://myotonicdystrophystudy.com>.

Informazioni sulla distrofia miotonica

La distrofia miotonica (miotonia distrofica, o DM) è una malattia neuromuscolare ereditaria che causa debolezza muscolare progressiva, atrofia muscolare, rigidità muscolare e ritardo del rilassamento (miotonia). Attualmente non esistono cure o trattamenti genetici per i disturbi miotonici. La mexiletina (NaMuscla®) è già approvata (in capsule) in diversi Paesi europei per alleviare i sintomi della miotonia negli adulti con disturbi miotonici non distrofici (NDM). Presenta un profilo di sicurezza ed efficacia ben consolidato.

Sebbene la mexiletina sia approvata per il trattamento degli NDM, sono ancora limitate le informazioni sulla sua sicurezza ed efficacia nelle persone che convivono con DM1 e DM2.

Lo studio HERCULES valuterà in che modo la mexiletina a rilascio prolungato (PR) influisce sulla qualità della vita dei pazienti con DM1 e DM2 affetti da miotonia.

Chi può partecipare?

Lei potrebbe partecipare allo studio HERCULES se:

- ha almeno 16 anni*
- ha una diagnosi di DM1 o DM2 genetica
- pesa almeno 45 kg

- è in grado di camminare autonomamente per 10 metri (con bastone, deambulatore o ortesi, se necessario)
- non è in gravidanza

** Per i minori di 18 anni è necessario il consenso di una persona adulta responsabile.*

Cosa comporta la partecipazione allo studio?

In caso di idoneità e se accetta di partecipare allo studio HERCULES, 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. La Sua salute e sicurezza saranno attentamente monitorate per tutta la durata dello studio. Le sarà richiesto di partecipare a sei visite in presenza e a effettuare due telefonate con il personale 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.

Dopo aver completato lo studio HERCULES, avrà la possibilità di partecipare allo studio di follow-up ATLAS. Il medico dello studio Le fornirà ulteriori informazioni se è interessato/a.

Perché partecipare?

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

è completamente volontaria. Può ritirarsi dallo studio 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.

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.

Partecipando, potrà inoltre contribuire al progresso delle conoscenze mediche ed eventualmente a migliorare i trattamenti per lei e le altre persone in futuro.

Lo studio HERCULES fornirà informazioni sulla sicurezza e sull'efficacia della formulazione PR della mexiletina nelle persone affette da DM1 e DM2.

Al termine dello studio HERCULES, i partecipanti potranno accedere allo studio di follow-up ATLAS. ATLAS è uno studio in aperto in cui i partecipanti riceveranno mexiletina in formulazione a rilascio prolungato.

Prof. Andreas Hahn, Professore di Pediatria Dipartimento di Neurologia Pediatrica, Ospedale Universitario UKGM di Giessen, Germania: "Partecipando allo studio HERCULES, contribuisce a far avanzare la ricerca che potrebbe portare a migliori opzioni terapeutiche per le persone che convivono con la distrofia miotonica. La Sua partecipazione può fare una differenza significativa nella comprensione di questa condizione e nel supporto allo sviluppo di future terapie per la comunità DM."

Supporto per l'organizzazione dei viaggi

Per la maggior parte dei centri partecipanti allo studio, è disponibile un servizio di concierge per aiutarla, se necessario, nell'organizzazione dei viaggi da e verso l'ospedale per le visite dello studio.