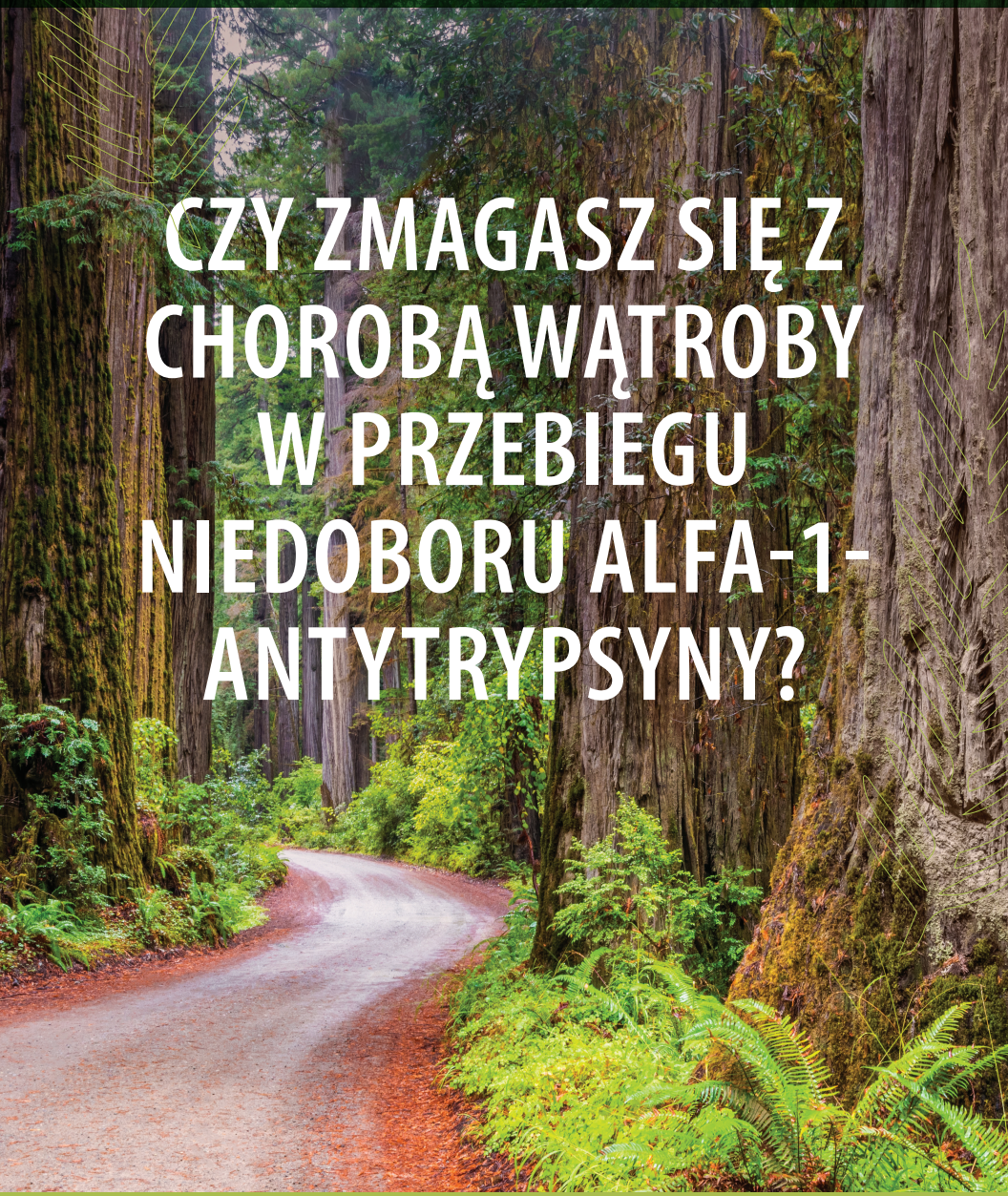
BADANIE KLINICZNE WE WSKAZANIU CHOROBY WĄTROBY W PRZEBIEGU NIEDOBORU ALFA-1-ANTYTRYPSYNY



CZY ZMAGASZ SIĘ Z CHOROBĄ WĄTROBY W PRZEBIEGU NIEDOBORU ALFA-1-ANTYTRYPSYNY?

TheRedwoodLiverStudy.com/PL-PL

The Redwood Study

Jeśli rozpoznano u Ciebie chorobę wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny albo jeśli schorzenie to występuje w Twojej rodzinie, rozwiązaniem dla Ciebie może być udział w badaniu Redwood Study. Aby dowiedzieć się więcej, już dzisiaj porozmawiaj ze swoim lekarzem i odwiedź stronę **TheRedwoodLiverStudy.com/PL-PL.**

POZNAJ NOWĄ ŚCIEŻKĘ LECZENIA CHOROBY WĄTROBY W PRZEBIEGU NIEDOBORU ALFA-1-ANTYTRYPSYNY

Niedobór alfa-1-antytrypsyny (AATD) jest dziedzicznym schorzeniem, które może spowodować uszkodzenie wątroby i/lub płuc.[1] Choroba wątroby związana z AATD jest spowodowana nieprawidłowym gromadzeniem się białka AAT w wątrobie.[2] Powoduje to uszkodzenie wątroby, ponieważ nie może ona rozłożyć białka, co może prowadzić do bliznowacenia (zwanego również włóknieniem wątroby), a to z kolei - do marskości wątroby, póxnego stadium bliznowacenia wątroby, co może wymagać transplantu wątroby.[2,3,4,5]

Jeśli chorujesz na chorobę wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny lub jeśli ta choroba występuje w Twojej rodzinie, być może wiesz, że obecnie nie ma zatwierdzonego leczenia na tę chorobę.[6] Mimo że choroba jest dziedziczona przez dzieci od rodziców, narażenie środowiskowe lub inne czynniki mogą mieć wpływ na rozwój i progresję choroby. Obecnie trwają badania mające na celu znalezienie potencjalnego leku na chorobę wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny. Możesz wziąć w nim udział bez względu na stadium zaawansowania występującej u Ciebie choroby.

Jeżeli interesuje Cię udział w badaniu, ośrodek badawczy może potwierdzić rozpoznanie choroby wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny, jak również przeprowadzić ocenę pod kątem pozostałych kryteriów obowiązujących w badaniu, aby określić, czy kwalifikujesz się do wzięcia w nim udziału.

1. Brantly M, et al. Orphanet J Rare Dis 2020;15:96
2. Piccolo P, et al. W: Strnad P, et al (eds). α1-Antitrypsin Deficiency (ERS) Monograph, 93–104. Sheffield: ERS, 2019.
3. Patel D, et al., Clin Liver Dis 2018;22(4):643–655
4. Liedtke C, et al. Front Med (Lausanne) 2022;8:814496.
5. nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2205416
6. alpha1.org/newly-diagnosed/learning-about-alpha-1/liver-disease

KTO MOŻE KWALIFIKOWAĆ SIĘ DO UDZIAŁU W BADANIU?

Do udziału w tym badaniu mogą kwalifikować się osoby w wieku od 18 do 75 lat z potwierdzonym bądź podejrzewanym rozpoznaniem choroby wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny (AATD-LD z mutacją PiZZ) u siebie bądź u któregokolwiek z członków rodziny.

INFORMACJE O BADANIU REDWOOD STUDY

- Celem badania jest ocena bezpieczeństwa stosowania i skuteczności badanego leku eksperymentalnego o nazwie TAK-999 (fazirsiran) u dorosłych w wieku od 18 do 75 lat z chorobą wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny.
- Badany lek eksperymentalny będzie porównywany z placebo, które może wyglądać dokładnie tak samo jak badany lek eksperymentalny, ale nie zawiera żadnego aktywnego leku.
- Uczestnicy będą losowo przydzielani do grupy przyjmującej badany lek eksperymentalny albo do grupy przyjmującej placebo. Przydzielone leczenie w ramach badania będzie podawane w postaci wstrzyknięć.

Udział w badaniu Redwood Study potrwa maksymalnie około 4 i pół roku i obejmie trzy okresy:

- **Okres przesiewowy:** potrwa maksymalnie 10 tygodni i obejmie co najmniej jedną wizytę w ramach badania. W tym okresie zespół badawczy przeprowadzi testy i procedury, aby określić, czy kwalifikujesz się do udziału w badaniu. Zespół badawczy będzie mógł także potwierdzić w tym czasie rozpoznanie choroby wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny.
- **Okres leczenia:** potrwa maksymalnie 4 lata i obejmie maks. 20 wizyt w ośrodku badawczym. W pierwszym roku badania pomiędzy wizytami będą odbywać się comiesięczne rozmowy telefoniczne. Uczestnicy zostaną losowo przydzieleni do grupy otrzymującej badany lek eksperymentalny lub placebo. Zarówno badany lek eksperymentalny, jak i placebo są podawane w postaci zastrzyków.
- **Okres obserwacji kontrolnej pod kątem bezpieczeństwa:** Po przyjęciu ostatniej dawki leczenia w ramach badania uczestnicy zostaną objęci obserwacją kontrolną, która będzie prowadzona przez maksymalnie 6 miesięcy i w ramach której odbędą się dwie wizyty w ośrodku, w celu ciągłego monitorowania ich stanu zdrowia.

Podczas niektórych wizyt w trakcie badania zespół badawczy będzie wykonywał testy i procedury takie jak badania fizykalne, pobrania próbek krwi i zebranie próbek moczu, biopsje wątroby i badania czynności płuc. Uczestnicy odpowiedzą również na pytania dotyczące ich stanu zdrowia i wszelkich przyjmowanych leków.

INFORMACJE NA TEMAT BADANEGO LEKU EKSPERYMENTALNEGO

Obecnie nie ma dostępnego zatwierdzonego leczenia choroby wątroby w przebiegu niedoboru alfa-1-antytrypsyny. Badany lek eksperymentalny oceniany w tym badaniu klinicznym ma na celu zmniejszenie wytwarzania nieprawidłowego białka Z-AAT i ograniczenie jego gromadzenia się w wątrobie. Obniżenie poziomu białka Z-AAT może prowadzić do zmniejszenia bliznowacenia wątroby.

SPRAWDŹ, CZY KWALIFIKUJESZ SIĘ DO BADANIA

Aby dowiedzieć się więcej i sprawdzić, czy kwalifikujesz się do udziału w badaniu, porozmawiaj ze swoim lekarzem, skontaktuj się z wymienionym poniżej ośrodkiem badawczym lub odwiedź stronę **TheRedwoodLiverStudy.com/PL-PL**.

CO NALEŻY WIEDZIEĆ O BADANIACH KLINICZNYCH

Badania kliniczne mają na celu udzielenie odpowiedzi na konkretne pytania dotyczące sposobu działania leków u ochotników, którzy je przyjmują. Należy mieć pełną świadomość tego, z czym wiąże się udział w badaniu klinicznym.

Badacze wykorzystują badania kliniczne do następujących celów:

- uzyskania odpowiedzi na konkretne pytania dotyczące zdrowia;
- uzyskiwanie informacji na temat działania i bezpieczeństwa stosowania leków eksperymentalnych;
- znajdowanie nowych zastosowań dla zatwierdzonych leków.

Opracowane zostały przepisy i polityki mające na celu ochronę praw, bezpieczeństwa i dobrostanu osób uczestniczących w badaniach klinicznych oraz zapewnienie, że badania te są prowadzone zgodnie z rygorystycznymi zasadami naukowymi i etycznymi. Przed rozpoczęciem badania klinicznego musi ono zostać sprawdzone i zatwierdzone przez komisję bioetyczną (KB).

Udział w jakimkolwiek klinicznym badaniu naukowym jest całkowicie dobrowolny i można się wycofać z udziału w nim w dowolnym momencie i z dowolnego powodu. Przed zgłoszeniem się do udziału w badaniu klinicznym ważne jest, aby rozważyć potencjalne zagrożenia i korzyści związane z udziałem w badaniu, o których poinformuje Cię zespół badawczy, oraz możliwe działania niepożądane. Aby podjąć świadomą decyzję, należy zebrać jak najwięcej informacji i zwrócić się do swojego lekarza z wszelkimi ewentualnymi pytaniami.

Więcej informacji można znaleźć na stronie **TheRedwoodLiverStudy.com/PL-PL**.

Dziękujemy za rozważenie udziału w badaniu Redwood Study.