

Qué pueden esperar los participantes del estudio

Las personas que sean elegibles para el estudio y decidan participar recibirán:

- El medicamento en investigación o el placebo y toda la atención relacionada con el estudio sin costo alguno
- Atención y seguimiento estrecho durante el estudio por parte de médicos y personal que comprenden su afección.
- La opción de unirse al estudio de extensión de etiqueta abierta (OLE) después de completar el estudio donde todos los participantes recibirán el medicamento en investigación.
- Es posible que se reembolsen ciertos gastos relacionados con la participación en el estudio, como traslados, comidas, etc.

Para ayudar a tomar una decisión informada sobre si participar o no en este estudio, los posibles participantes pasarán por un proceso llamado consentimiento informado. El proceso de consentimiento informado revisará lo que implica participar en el estudio y los posibles riesgos y beneficios. Un participante puede abandonar el estudio en cualquier momento, por cualquier motivo, sin penalización.



Para obtener más información sobre este nuevo estudio, o para saber si usted, su hijo o un ser querido pueden calificar, visite el sitio web del estudio Skyline en skyline-study.com o clinicaltrials.takeda.com.



Nuevos horizontes

Un estudio de investigación clínica para niños, adolescentes y adultos jóvenes diagnosticados con síndrome de Dravet: el estudio Skyline



Una persona puede calificar para el estudio Skyline si él / ella:

- Tiene de 2 a 21 años
- Ha sido diagnosticado con síndrome de Dravet
- Tiene 4 o más convulsiones cada mes durante los últimos 3 meses
- No ha podido controlar las convulsiones con al menos 2 medicamentos anticonvulsivos en el pasado

El personal del estudio determinará la elegibilidad según criterios adicionales del estudio.

¿Qué es el síndrome de Dravet?

El síndrome de Dravet (SD) es un síndrome epiléptico poco común causado con mayor frecuencia por una mutación genética. El síndrome generalmente comienza durante la infancia o la primera infancia y se caracteriza por convulsiones focales prolongadas que pueden evolucionar a otros tipos de convulsiones. Las personas con SD suelen tener resistencia a los medicamentos anticonvulsivos, lo que genera una disponibilidad limitada de opciones de tratamiento.



Acerca del estudio Skyline

El estudio Skyline es un estudio de investigación clínica de fase 3 de un medicamento en investigación para niños, adolescentes y adultos jóvenes diagnosticados con síndrome de Dravet que actualmente usan medicamentos anticonvulsivos para controlar los síntomas y aún experimentan convulsiones. El medicamento en investigación, soticlestat, funciona de manera diferente a los medicamentos aprobados actualmente y se está probando como terapia complementaria en el estudio de investigación clínica.

El objetivo del estudio de investigación clínica de fase 3 es evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad del medicamento en investigación cuando se toma con otros tratamientos anticonvulsivos. En estudios de investigación clínica anteriores, se ha demostrado que el medicamento en investigación reduce la cantidad de convulsiones en los participantes del estudio.

Durante el estudio, los participantes se dividirán en dos grupos: uno recibirá el medicamento del estudio y el otro recibirá un placebo (se parece al medicamento del estudio pero no contiene ingredientes activos). Después de completar el estudio, los participantes pueden unirse al estudio de extensión de etiqueta abierta (OLE) donde cada participante recibirá el medicamento del estudio.

La participación en el estudio implica:

- Hasta 5 visitas de estudio planificadas en persona
- Aproximadamente 25 semanas de participación en el estudio

¿Qué sucederá durante el estudio?

- **Selección (de 4 a 6 semanas):** Durante la evaluación, se determinará si usted, su hijo o un ser querido califica para el estudio.
- **Período de ajuste de la dosis (4 semanas):** Durante la primera visita del período de ajuste de la dosis de cuatro semanas, los participantes serán asignados al azar en uno de dos grupos. Un grupo recibirá el medicamento del estudio y un grupo recibirá un placebo. El placebo se verá como el medicamento del estudio pero no tendrá ingredientes activos. El ajuste de la dosis es el proceso de ajustar una dosis de medicamento para determinar la dosis que una persona puede tolerar. Durante las cuatro semanas, los participantes recibirán el medicamento del estudio o un placebo en dosis mayores. La dosis se incrementará durante el período de ajuste de la dosis siempre que los participantes no tengan problemas de tolerabilidad. Si los participantes no pueden tolerar la dosis mínima, suspenderán el estudio.
- **Período de mantenimiento (12 semanas):** La dosis que recibe un participante al final del período de ajuste de la dosis se tomará durante el período de mantenimiento de 12 semanas. Todos los participantes pueden tener la opción de unirse al estudio de extensión de etiqueta abierta (OLE) después de completar el período de mantenimiento (según los criterios de selección para el estudio OLE). Durante el estudio OLE, todos los participantes (incluidos los que recibieron placebo) tomarán el medicamento en investigación.
- **Seguimiento (3 semanas):** Los participantes que no se unan al estudio OLE reducirán gradualmente el medicamento del estudio durante una semana y completarán una visita de seguimiento de seguridad o una llamada telefónica aproximadamente dos semanas después de recibir su última dosis del medicamento del estudio.

Durante toda la participación en el estudio, todas las visitas, las pruebas y los medicamentos relacionados con el estudio se proporcionarán sin costo alguno. Es posible que también se reembolsen ciertos gastos relacionados con la participación en el estudio, como traslados, comidas, etc.