

# WPROWADZENIE NAUKOWE BADANIE KLINICZNE



**Dla pacjentów z rozpoznaniem miastonii uogólnionej, którzy są zainteresowani udziałem w badaniu klinicznym dotyczącym stosowania leku eksperymentalnego o nazwie efgartigimod.**

Efgartigimod to lek „eksperymentalny”, co oznacza, że nie został jeszcze dopuszczony do stosowania przez Agencję Żywności i Leków (FDA) w Stanach Zjednoczonych ani przez inne organy regulacyjne na świecie.

## CZY KWALIFIKUJE SIĘ PAN/PANI DO UDZIAŁU W BADANIU?

Do udziału w badaniu ADAPT<sup>SC</sup> mogą zostać zakwalifikowane osoby, które spełniają poniższe kryteria:

- ▶ Wiek  $\geq$  18 lat (20 lat w przypadku Japonii).
- ▶ Rozpoznanie miastonii uogólnionej (gMG).
- ▶ Przyjmowanie stabilnej dawki leków stosowanych regularnie w leczeniu miastonii uogólnionej.
- ▶ Nieprzyjmowanie żadnych leków na bazie przeciwciał w ciągu 6 miesięcy.
- ▶ Chęć i zdolność zgłaszania się do ośrodka badawczego w regularnych odstępach czasu.

# INFORMACJE OGÓLNE O BADANIU

## CZYM JEST BADANIE ADAPT<sup>SC</sup>?



Badanie naukowe ADAPT<sup>SC</sup> (ARGX-113-2001) zostało zaprojektowane w celu oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania efgartigimodu podawanego we wstrzyknięciach podskórnych u dorosłych z miastenią uogólnioną (gMG). Efgartigimod będzie podawany w postaci 4 cotygodniowych wlewów dożylnych lub 4 cotygodniowych wstrzyknięć podskórnych. Głównym celem badania jest określenie, czy istnieje różnica w zakresie wpływu na organizm dla 2 różnych dróg podania efgartigimodu.



To badanie będzie prowadzone na całym świecie w wielu ośrodkach leczniczych. Opis tego badania naukowego jest dostępny na stronie <http://www.clinicaltrials.gov>.



Jest to badanie naukowe sponsorowane przez firmę argenx BV. Więcej informacji na temat tej firmy można znaleźć na stronie <http://www.argenx.com/patients/myasthenia-gravis>

## WAŻNE INFORMACJE DODATKOWE

### Czym jest gMG?

Miastenia uogólniona (gMG) to choroba o podłożu autoimmunologicznym związana z nieprawidłowym funkcjonowaniem przeciwciał. Układ odpornościowy organizmu wytwarza przeciwciała w ramach obrony przed obcymi lub szkodliwymi substancjami. U osób z chorobami autoimmunologicznymi, takimi jak gMG, układ odpornościowy nie funkcjonuje prawidłowo, w wyniku czego pewne przeciwciała atakują tkanki organizmu, zamiast je chronić.

W przypadku miastenii uogólnionej przeciwciała zaburzają komunikację pomiędzy komórkami nerwowymi i mięśniami. Skutkuje to osłabieniem mięśni i może prowadzić do innych objawów, takich jak zmęczenie i trudności w wykonywaniu codziennych czynności fizycznych.

### Czym jest lek eksperymentalny (efgartigimod)?

Efgartigimod to lek „eksperymentalny”, co oznacza, że nie został jeszcze dopuszczony do stosowania przez Agencję Żywności i Leków (FDA) w Stanach Zjednoczonych ani przez inne organy regulacyjne na świecie.

# KOSZTY

## CZY UDZIAŁ W BADANIU WIĄŻE SIĘ Z JAKIMIŚ KOSZTAMI?



Udział w badaniu nie będzie wiązać się z żadnymi kosztami.



Uczestnicy nie otrzymają wynagrodzenia za udział w tym badaniu, ale na żądanie mogą uzyskać zwrot kosztów podróży związanych z badaniem.



Firma argenx opłaci wszystkie leki, testy, badania i opiekę medyczną związaną z badaniem.

# ZAGROŻENIA I KORZYŚCI

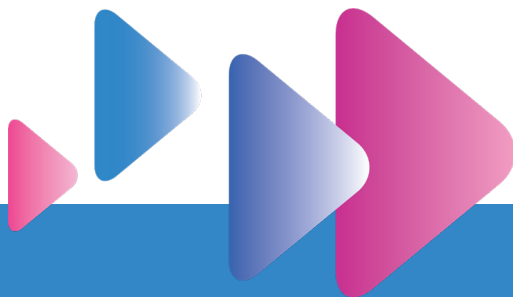
## JAKIE ZAGROŻENIA LUB KORZYŚCI WIAŻĄ SIĘ Z UDZIAŁEM W TYM BADANIU?



Stan zdrowia każdego uczestnika badania może ulec poprawie, pozostać bez zmian lub nawet się pogorszyć.



Informacje zebrane dzięki udziałowi w badaniu mogą pomóc badaczom w zdobyciu nowej wiedzy na temat leku eksperymentalnego (efgartigimodu) oraz jego wpływu na dorosłych pacjentów z miastenią uogólnioną (gMG).



## **ILE CZASU POTRWA BADANIE I CO BĘDZIE SIĘ DZIAŁO PODCZAS WIZYT W RAMACH BADANIA?**

- ▶ Badanie będzie prowadzone przez okres 12 tygodni.
- ▶ Uczestnicy badania będą zgłaszać się regularnie na wizyty planowe do ośrodka badawczego, podczas których otrzymają 4 cotygodniowe wlewy dożylnie lub 4 cotygodniowe wstrzyknięcia podskórne efgartigimodu.
- ▶ Podczas tych wizyt uczestnicy zostaną poddani testom, ocenom i procedurom w ramach badania, które służą kontroli tego, w jaki sposób reagują oni na lek eksperymentalny (efgartigimod).
- ▶ Przez cały okres trwania badania uczestnicy będą również pytani o jakość życia i o samopoczucie.
- ▶ Po zakończeniu udziału w badaniu uczestnicy zostaną objęci obserwacją kontrolną. Uczestnicy, którzy ukończą 12-tygodniowy okres udziału w tym badaniu i będą spełniać kryteria kwalifikacyjne, mogą podjąć decyzję o przystąpieniu do innego badania – tzw. otwartego badania przedłużonego. W tym badaniu wszyscy uczestnicy będą przyjmować lek eksperymentalny, efgartigimod, podskórnie, a głównym celem badania będzie dalsza ocena bezpieczeństwa jego stosowania. W stosownych przypadkach lekarz prowadzący badanie omówi tę możliwość.

**Udział w badaniu klinicznym ADAPT<sup>sc</sup> jest całkowicie dobrowolny (to Pana/Pani decyzja).**

**Można przerwać udział w badaniu w dowolnym momencie i z dowolnego powodu.**



**Aby uzyskać więcej informacji  
na temat tego badania,** proszę  
porozmawiać z lekarzem prowadzącym  
badanie lub odwiedzić stronę  
[clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) i wyszukać badanie  
NCT04735432.