

Introducción al estudio ALN-6400-001 para personas con THH

Estamos evaluando la seguridad y la eficacia de un medicamento en investigación en personas con un trastorno hemorrágico denominado telangiectasia hemorrágica hereditaria (THH).

¿Quién puede participar en este estudio?

Estamos buscando 48 personas para que participen en este estudio, que cumplan los siguientes requisitos (entre otros):

-  Tener 18 años o más.
-  Haber sido diagnosticadas de THH.
-  Presentar hemorragias nasales frecuentes.

La THH

La THH es una enfermedad heredada de un progenitor que causa hemorragias anómalas, como hemorragias nasales frecuentes y hemorragias en el tubo digestivo. En estos momentos, no existen tratamientos autorizados para la THH.

Algunas personas con THH pueden tomar algunos medicamentos para controlar los síntomas de la afección, si bien estos medicamentos no se han desarrollado específicamente para tratar la THH.



¿Qué implica la participación?

Si desea participar, primero le efectuaremos unas evaluaciones de selección para asegurarnos de que el estudio es adecuado para usted. Si cumple los requisitos y opta por participar, se le asignará al azar a recibir el medicamento en investigación o un placebo en forma de inyección. **Sin embargo, al cabo de unas 24 semanas, recibirá el medicamento en investigación durante unas 48 semanas, incluso si al principio se le asignó un placebo.**

La duración total de su participación en el estudio será de unos 2 años. Durante este tiempo, llevaremos a cabo una serie de evaluaciones de salud periódicas para supervisar su estado de salud.

No tendrá que pagar por estas evaluaciones de salud ni por ningún medicamento relacionado con el estudio. Es posible que le reembolsen los gastos de desplazamiento relacionados con el estudio. La participación es voluntaria, y puede abandonar el estudio en cualquier momento sin que eso afecte a su atención médica habitual.

¿Cómo puedo obtener más información?

Si piensa que a usted o a alguien que conoce le interesaría participar en este estudio clínico tan importante, póngase en contacto con el equipo del estudio a través de los datos proporcionados. Estarán encantados de responder a cualquier pregunta y de darle más información.

Datos de contacto del equipo del estudio:

[INSERTAR DATOS DE CONTACTO]





Los estudios clínicos son un tipo de investigación médica que:

- permite evaluar medicamentos en investigación para una amplia gama de enfermedades.
- requiere personas que se ofrezcan a participar voluntariamente.
- sigue protocolos estrictos para garantizar la seguridad y los derechos de todas las personas participantes.
- tiene como objetivo desarrollar nuevos medicamentos o mejorar los tratamientos existentes.



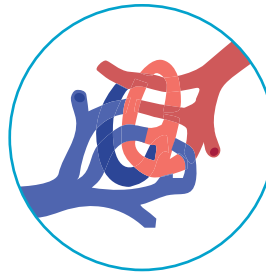
ALN-6400-001



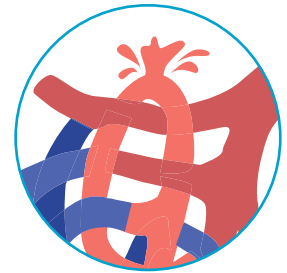
Breve resumen de la telangiectasia hemorrágica hereditaria (THH)



La THH es una enfermedad hereditaria (transmitida de padres a hijos)



Se produce cuando los vasos sanguíneos se desarrollan de forma anómala



Estos vasos anómalos son frágiles y tienden a sangrar

ALN-6400-001



El medicamento en investigación de este estudio se denomina ALN-6400 y es un fármaco de ácido ribonucleico de interferencia (ARNi)

¿Qué es el tratamiento mediante ARNi?

- El plasminógeno es una proteína producida en el hígado que ayuda a descomponer los coágulos sanguíneos.
- Para crear proteínas como el plasminógeno, se copia un fragmento determinado del ADN (el manual de instrucciones de las células del organismo) para producir ARN.
- El ARN puede verse como el mensajero que copia y lleva las instrucciones para fabricar la proteína. Cuando se procesan las instrucciones proporcionadas por el ARN, se forma la proteína.
- El tratamiento mediante ARNi rompe el ARN antes de que se procesen las instrucciones, lo que reduce la producción de ciertas proteínas.
- En este estudio se quiere determinar si el ALN-6400 podría reducir la producción de plasminógeno en personas con THH y así disminuir la descomposición de los coágulos y los síntomas de sangrado**

ALN-6400-001



¿Quién puede participar en el estudio ALN-6400-001?



Estamos buscando 48 personas para que participen en la fase actual del estudio, que cumplan los siguientes requisitos (entre otros):

- 🔴 Tener 18 años o más.
- 🔴 Haber sido diagnosticadas de THH.
- 🔴 Presentar hemorragias nasales frecuentes.
- 🔴 Estar dispuestas a **no** tomar otros medicamentos para tratar la THH, incluidos el ácido tranexámico y el ácido aminocaproico (salvo que se lo indique el médico del estudio)



ALN-6400-001



¿Qué implicará la participación en este estudio?



La duración total de su participación será de unos 2 años.

Periodo de selección

- Hasta 1 mes
- 1 visita

Periodo de tratamiento

- Alrededor de 24 semanas
- Tendrá visitas del estudio cada 2 semanas durante 1 mes y, a continuación, cada 4 semanas
- Las visitas tendrán lugar en el centro del estudio, en casa o en otro lugar adecuado.
- ALN-6400 o placebo* administrado en forma de inyección

Periodo de observación

- Alrededor de 1 mes
- Durante este periodo, supervisaremos su estado de salud para conocer sus valores normales de sangrado. Estos datos nos permitirán comparar los efectos del medicamento del estudio en su THH durante el periodo de tratamiento.
- **No hay visitas del estudio durante este periodo.**

Periodo de extensión en abierto (pendiente de autorización sanitaria)

- Alrededor de 48 semanas
- 9 visitas (cada 4-6 semanas)
- Todos los participantes recibirán ALN-6400
- Proporciona a los investigadores datos importantes sobre los efectos de ALN-6400 a largo plazo

Periodo de seguimiento

- Unas 24 semanas como máximo
- Máximo de 2 visitas (cada 12 semanas)

*El placebo tiene un aspecto idéntico al medicamento en investigación, pero no contiene ningún medicamento activo.

ALN-6400-001



Visitas del estudio



Tendrá visitas del estudio cada 2 semanas durante el primer mes y, a continuación, cada 4-6 semanas durante 16 meses. Recibirá el medicamento del estudio asignado cada 12 semanas durante estas visitas. También llevaremos a cabo evaluaciones de salud periódicas en las visitas a fin de supervisar su estado de salud. Estas evaluaciones variarán en cada visita e incluirán:

Procedimiento		A diario	En todas o la mayoría de las visitas	En visitas puntuales
	Administración del medicamento del estudio			●
	Exploración física		●	
	Análisis de sangre o de orina		●	
	Prueba de embarazo (si procede)		●	
	Registro electrónico diario de las hemorragias nasales	●		
	Cuestionarios		●	
	Electrocardiograma (ECG)			●

ALN-6400-001



¿Hay algo más que deba saber?



- Deberá rellenar un registro electrónico diario para que podamos supervisar sus hemorragias nasales. Es una parte importante del estudio, porque nos ayuda a entender cualquier cambio que se produzca en su THH.
- Es posible que le reembolsen los gastos de desplazamiento relacionados con el estudio.
- No es necesario disponer de seguro para participar (si esta opción le es aplicable).

¿Cuál es el siguiente paso?

- La participación es totalmente voluntaria: no tiene que incorporarse a este estudio clínico si no quiere.
- Si decide incorporarse, pero luego cambia de opinión, tampoco pasa nada. Podrá abandonar el estudio en cualquier momento y por cualquier motivo, sin que se vea afectada la atención médica que recibe habitualmente.

ALN-6400-001

