

Estudio MEXWILS

Folleto explicativo

¡Bienvenido/a al estudio MexWils!

Gracias por aceptar participar en este estudio clínico sobre la enfermedad de Wilson (EW). Usted tendrá un papel esencial si participa en este estudio. Permitirá a los investigadores comprender mejor un posible tratamiento para la EW. La seguridad y el bienestar de cada participante es nuestra máxima prioridad. Si tiene alguna pregunta o inquietud, no dude en ponerse en contacto con el personal de enfermería que participa en este estudio.



Por qué esta guía

Esta guía se ha diseñado para ayudarle a comprender los aspectos y las distintas fases del estudio. Incluye información importante sobre los distintos procedimientos y visitas que conlleva.

Si desea ponerse en contacto con el personal de enfermería que participa en el estudio, a continuación encontrará sus datos de contacto:

Médico del estudio :

Número de teléfono :

Dirección :



Antecedentes de la enfermedad de

Wilson

La enfermedad de Wilson (EW) es una alteración genética considerada rara o poco frecuente que impide a quienes la padecen eliminar correctamente el cobre de su organismo. El cobre es esencial para el cuerpo humano, ya que interviene en el crecimiento, la resistencia ósea y el funcionamiento de los glóbulos rojos y blancos.

Normalmente, el exceso de cobre se elimina en la bilis producida por el hígado y en la orina.

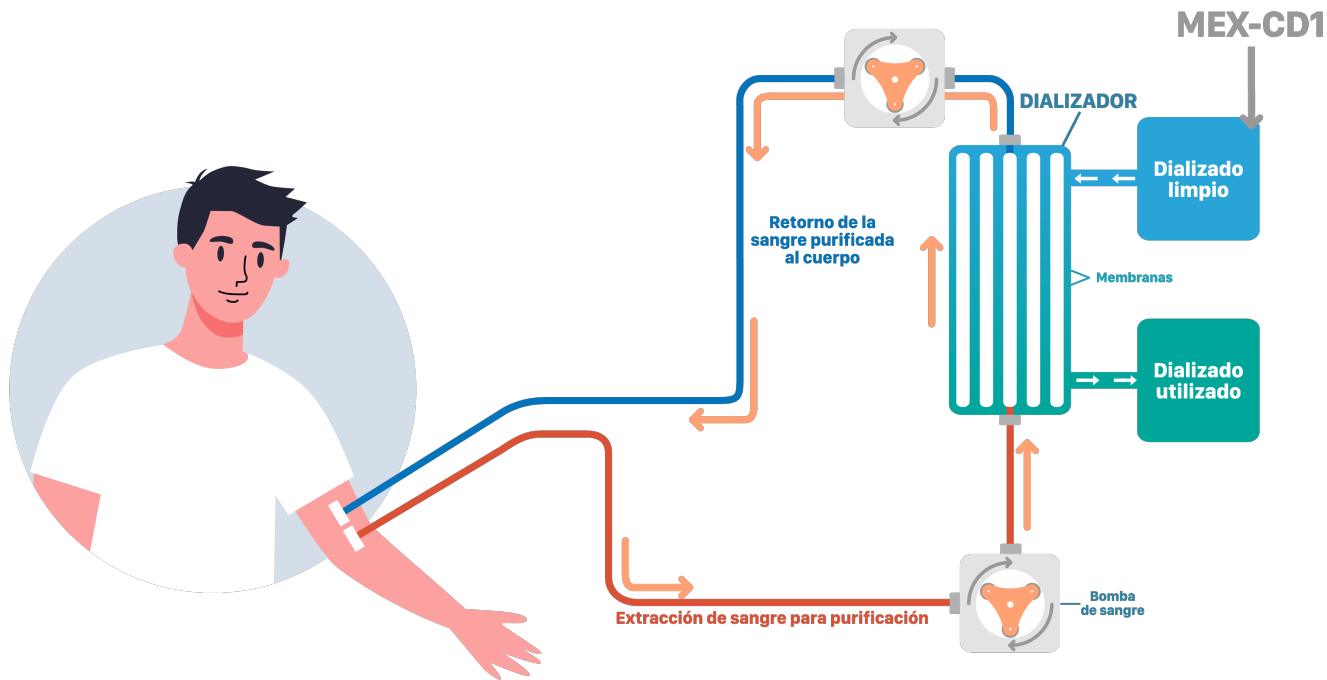
En las personas con EW, no sólo la eliminación del cobre es imperfecta, sino que el cobre se encuentra en la sangre en forma libre (no unido a la ceruloplasmina, su transportador natural). Entonces se vuelve tóxico para el cerebro y otros órganos, en particular el hígado, debido a su acumulación.

Sobre el sistema estudiado

El dispositivo estudiado se llama MEX-CD1. Se trata de una molécula de gran tamaño capaz de capturar iones metálicos. Se coloca en el dializado de un sistema de diálisis para capturar el cobre libre presente en la sangre.

En diálisis, la sangre se extrae y circula por el dializador antes de ser devuelta al paciente. El dializador es una membrana porosa que permite los intercambios entre la sangre y el dializado, un líquido que contiene las sustancias que hay que eliminar.

La MEX-CD1 se coloca en el dializado y, por tanto, queda permanentemente separada de la sangre por la membrana de diálisis. Al ser una molécula muy grande, la MEX-CD1 no atraviesa la membrana, cuyos poros son demasiado pequeños. Como resultado, MEX-CD1 nunca está en contacto directo con la sangre y no puede entrar en el organismo.



Gracias a su capacidad para capturar iones de cobre, MEX-CD1 permite eliminar grandes cantidades de cobre libre sin los efectos secundarios esperados. Esto significa

que se pueden restablecer más rápidamente los niveles normales de cobre y evitar daños en los órganos.

Este dispositivo es experimental, lo que significa que su uso está autorizado únicamente con fines de

investigación. El dispositivo en estudio se presenta en viales de 50 ml que se mezclan con el dializado antes de iniciar la diálisis. El personal del estudio se encargará de la mezcla y de todos los pasos necesarios para poner en marcha la diálisis.

Aunque este dispositivo es experimental, se basa en la diálisis, una técnica de purificación de la sangre muy conocida y consolidada que utilizan más de 80.000 personas varias veces por semana sólo en Francia. Para poder utilizarlo en este ensayo clínico, el MEX-CD1 se ha sometido a numerosas pruebas para demostrar la seguridad del dispositivo.

Durante el tratamiento, continuará con su tratamiento actual.



Resumen del estudio

El objetivo del estudio MexWils es evaluar la seguridad y eficacia de un dispositivo médico que se está investigando para su uso en personas con EW. El estudio está evaluando si el dispositivo en estudio reduce la cantidad de cobre en el organismo.

La duración total del estudio MexWils es de un máximo de 13 días para cada paciente y consiste en :

Selección – Durante este periodo, el personal del estudio revisa su historial médico y puede llevar a cabo exámenes para determinar si cumple las condiciones necesarias para participar en el estudio. Estos exámenes incluyen un análisis de sangre, la medición del peso y la medición de diversas constantes vitales y neurológicas.

Periodo de tratamiento – Este periodo dura entre 5 y 10 días e incluye una visita diaria al centro dónde se realiza el estudio. Durante este periodo, recibirá diálisis diaria utilizando el dispositivo médico en estudio. El médico del

estudio recogerá muestras de sangre y de dializado y realizará evaluaciones para comprobar su estado de salud.

Seguimiento postratamiento – Esta visita tendrá lugar 3 días después de que haya interrumpido sus sesiones de diálisis. En esta visita, el médico del estudio llevará a cabo las evaluaciones finales, que incluirán un examen físico y neurológico y muestras de sangre, para comprobar su estado de salud tras la interrupción del tratamiento.

Antecedentes del estudio

Por favor, tenga en cuenta lo siguiente durante su participación en el estudio:

Informe al personal del estudio sobre **todos los medicamentos que esté tomando** o si empieza a tomar algún medicamento nuevo durante el estudio.

Informe al personal del estudio si desarrolla algún problema médico durante el estudio.

Informe al personal del estudio si usted o su pareja **quedan embarazadas**.



Procedimientos del estudio

Durante el estudio se llevarán a cabo los siguientes procedimientos:



Examen y firma del formulario de consentimiento informado.

Firma de un formulario de consentimiento informado para participar en el estudio de investigación .



Examen de los criterios de elegibilidad

- El personal del estudio comprobará que usted o su hijo/hija pueden participar en el estudio .



Historial médico: el personal del estudio le preguntará por su estado de salud y por cualquier problema de salud que haya en su familia .



Consulta física: se realiza una consulta para comprobar su estado de salud .



Constantes vitales: el personal del estudio comprueba su presión arterial, frecuencia cardiaca, frecuencia respiratoria, temperatura, y mide su peso.



Prueba de embarazo: se toma y analiza una muestra de sangre para comprobar, en caso de que usted sea una mujer en edad fértil está embarazada .



Ecografía hepática: se realiza una ecografía del hígado para comprobar la presencia de tejido cicatricial y grasa en el hígado



Toma de muestras de sangre: el personal del estudio le tomará una muestra de sangre para medir los niveles de cobre en sangre y evaluar cómo está respondiendo su organismo al tratamiento .



Evaluación del estado neuropsiquiátrico - Se realiza un examen neurológico, que puede ir acompañado de una resonancia magnética, para comprobar la presencia de síntomas .



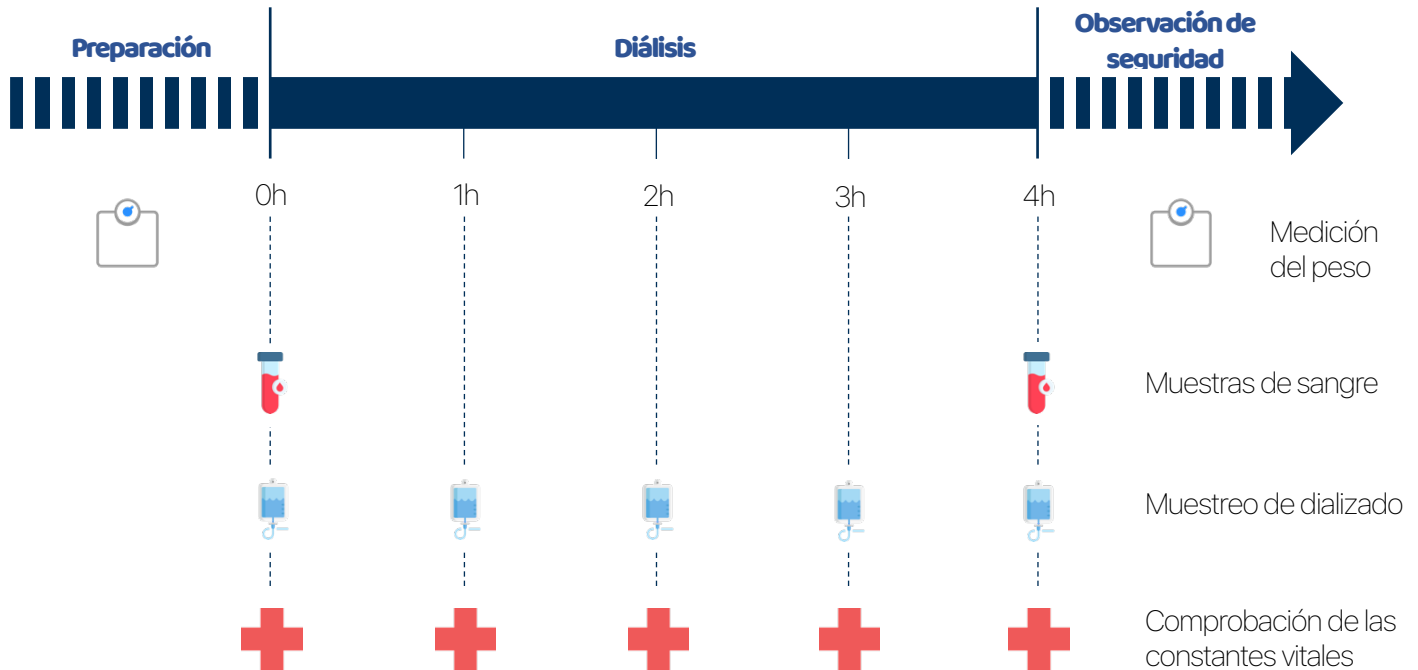
Muestreo del líquido de diálisis: el personal del estudio toma muestras periódicas del líquido de diálisis para medir los niveles de cobre extraídos por el dispositivo .

Calendario de actividades

Evaluación	Selección	Período de tratamiento										Descanso		Visita final		
		Día	-3 a -1	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10		+1	+2
Consentimiento informado	x															
Criterios de admisibilidad	x															
Prueba de embarazo (si es necesario)	x															
Diálisis con MEX-CD1	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)					
Peso del paciente	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)					x
Muestras de sangre	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)					x
Signos vitales	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)					x
Toma de muestras de líquido de diálisis		x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)					
Evaluación del estado del hígado (con ecografía, si es necesario)	x															x
Evaluación del estado neuropsiquiátrico (con IRM, si es necesario)	x															x
Evaluación de la gravedad de la MW	x															x

El estudio MexWils implica entre 5 y 10 sesiones de diálisis, dependiendo del estado del paciente. El número de sesiones de diálisis lo fija el médico y varía de 8 a 13 días en función del número de tratamientos .

Procedimiento de diálisis



Gracias

Una vez más, gracias por su confianza y participación en este estudio. Una investigación como ésta no podría llevarse a cabo sin personas voluntarias como usted y apreciamos su tiempo y compromiso con el estudio. Si tiene alguna pregunta o inquietud, no dude en ponerse en contacto con el personal del estudio.

MEXBRAIN