

Étude MEXWILS

Livret d'explication

Bienvenue dans l'étude MexWils !

Merci d'avoir accepté de participer à cette étude clinique sur la maladie de Wilson (MW). En participant à cette étude, vous jouez un rôle important en aidant des chercheurs à mieux comprendre un future traitement potentiel pour la MW. La sécurité et le bien-être de chaque participant sont nos principales priorités. Si vous avez des questions ou des préoccupations, n'hésitez pas à contacter le personnel soignant impliqué dans cette étude.



Pourquoi ce guide

Ce guide a été conçu pour vous aider à comprendre les enjeux et les différentes étapes de l'étude. Il comprend des informations importantes sur les différentes procédures et visites de l'étude.

Si vous souhaitez contacter le personnel soignant impliqué dans l'étude, vous trouverez ses coordonnées ci-dessous :

Médecin de l'étude :

Numéro de téléphone :

Adresse :



Rappels sur la Maladie de Wilson

La maladie de Wilson (MW) est une maladie génétique rare qui empêche les malades d'éliminer correctement le cuivre de leur organisme. Le cuivre est essentiel au corps humain, il joue un rôle dans la croissance, la solidité des os, le fonctionnement des globules rouges et blancs.

Normalement, le surplus de cuivre est éliminé dans la bile émise par le foie et dans l'urine.

Chez les personnes atteintes de la MW, non seulement l'élimination du cuivre est imparfaite, mais le cuivre se retrouve également dans le sang sous forme libre (non fixé à la céruloplasmine, son transporteur naturel). Il devient alors toxique pour le cerveau et les autres organes, notamment le foie.

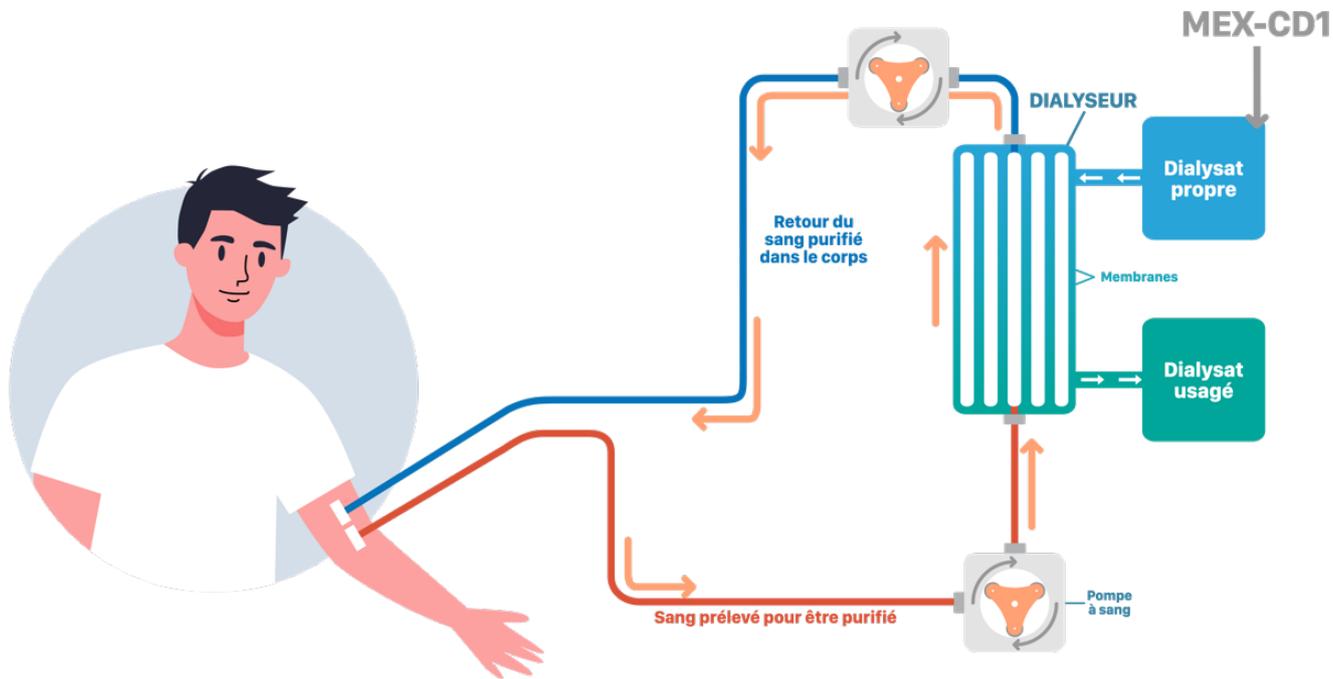
Il existe des traitements efficaces pour éliminer le cuivre accumulé, cependant l'amélioration sous traitement n'est pas immédiate et peut prendre plusieurs mois. Avec ces traitements il existe également un risque d'aggravation neurologique en début de traitement.

À propos du dispositif à l'étude

Le dispositif étudié est appelé MEX-CD1. Il s'agit d'une grosse molécule capable de capter des ions métalliques dont le cuivre. Celle-ci est placée dans le dialysat d'un système de dialyse pour capter le cuivre libre présent dans le sang.

Dans une dialyse, le sang est prélevé, circule au sein du dialyseur avant d'être rendu au patient. Le dialyseur est une membrane poreuse qui permet les échanges entre le sang et le dialysat, un liquide dans lequel se retrouvent les espèces à éliminer

Le MEX-CD1 est placé dans le dialysat et reste donc séparé du sang en permanence par la membrane de dialyse. Parce qu'il s'agit d'une très grande molécule, le MEX-CD1 ne passe pas à travers la membrane dont les pores sont trop petits. Ainsi, le MEX-CD1 n'est jamais en contact direct avec le sang et ne peut pas pénétrer dans l'organisme.



Notre hypothèse est que par sa capacité à capturer les ions cuivre, le MEX-CD1 permet de retirer de grandes quantités de cuivre libre sans effets secondaires attendus. Ceci devrait donc permettre un retour à des niveaux de

cuivre normaux plus rapidement et ainsi d'éviter les dommages aux organes.

Ce dispositif est expérimental, ce qui signifie que son utilisation est autorisée à des fins de recherche

uniquement. Le dispositif à l'étude se présente sous la forme de flacons de 50 ml qui sont mélangés au dialysat avant la mise en marche de la dialyse. Le personnel de l'étude se chargera du mélange ainsi que de l'ensemble des étapes de mise en place de la dialyse.

Bien que ce dispositif soit expérimental, il s'appuie sur la dialyse, une technique d'épuration du sang très bien connue et maîtrisée et utilisée par plus de 80 000 personnes plusieurs fois par semaine rien qu'en France. Avant de pouvoir être utilisé lors de cet essai clinique, le MEX-CD1 a subi de nombreux tests permettant de prouver la sécurité du dispositif.

Lors du traitement, vous continuerez votre traitement actuel.



Résumé de l'étude

L'objectif de l'étude MexWils est d'évaluer la sécurité et l'efficacité d'un dispositif médical à l'étude pour son utilisation chez les personnes atteintes de la MW. L'étude évalue si le dispositif à l'étude réduit la quantité de cuivre dans l'organisme.

La durée totale de l'étude MexWils est de 13 jours au maximum pour chaque patient et se compose de :

Sélection – Durant cette période, le personnel de l'étude passe en revue vos antécédents médicaux et peut réaliser des examens pour déterminer si vous remplissez les conditions requises pour participer à l'étude. Ces examens comprennent une prise de sang, une prise de poids et la mesure des différents signes vitaux et l'évaluation de la gravité de votre maladie, de votre statut hépatique et/ou neurologique.

Période de traitement – Cette période dure entre 5 et 10 jours et comprend une visite au centre de l'étude chaque

jour. Au cours de ces visites, vous recevrez chaque jour une dialyse d'une durée de 4 heures réalisée avec le dispositif médical à l'étude. Le médecin de l'étude recueillera deux échantillons de sang et six de dialysat et effectuera des évaluations pour vérifier votre état de santé. Avant la période de traitement, un cathéter central sera posé par un médecin afin de permettre un accès veineux adéquat pour la dialyse.

Suivi post-traitement – Cette visite d'une heure aura lieu 3 jours après que vous aurez cessé les séances de dialyse. Lors de cette visite, le médecin de l'étude effectue des évaluations finales, incluant un examen physique et éventuellement neurologique et des prélèvements d'échantillons de sang, pour vérifier votre état de santé après l'arrêt du traitement.

Risques – La dialyse est une technique éprouvée et les risques sont donc minimes, cependant ceux-ci incluent des saignements, de la fatigue, des douleurs musculaires et de l'hypotension

Rappels concernant l'étude

Veillez garder à l'esprit ce qui suit tout au long de votre participation à l'étude :

Informez le personnel de l'étude de **tous les médicaments que vous prenez** ou si vous commencez à prendre de nouveaux médicaments pendant l'étude.

Informez le personnel de l'étude si vous présentez des problèmes médicaux pendant l'étude ou si vous avez des questions.

Informez le personnel de l'étude si vous ou votre partenaire **débutez une grossesse**.



Procédures de l'étude

Les procédures suivantes seront réalisées pendant l'étude :

 **Examen et signature du formulaire de consentement éclairé.** Vous signez un formulaire de consentement éclairé/d'assentiment pour participer à l'étude de recherche.

 **Examen des critères d'éligibilité** – Le personnel de l'étude vérifie que vous ou votre enfant êtes en mesure de participer à l'étude.

 **Antécédents médicaux** – Le personnel de l'étude vous interroge sur votre état de santé et sur tout problème de santé qui sévit dans votre famille.

 **Examen physique** – Un examen est réalisé pour vérifier votre état de santé.

 **Signes vitaux** – Le personnel de l'étude vérifie votre tension artérielle, votre fréquence cardiaque, votre fréquence respiratoire et votre température et mesure votre poids.

 **Test de grossesse** – Un échantillon de sang est prélevé et analysé pour vérifier la présence d'une grossesse chez les femmes en âge d'avoir des enfants.

 **Évaluation du foie** – Un examen de votre foie est réalisé pour vérifier la présence de tissu cicatriciel et de graisse dans le foie

 **Prélèvement d'échantillons de sang** – Le personnel de l'étude prélève un échantillon de sang pour mesurer les taux de cuivre présents dans le sang et évaluer comment votre organisme réagit au traitement.

 **Évaluation de l'état neuropsychiatrique** – Un examen neurologique, qui peut être accompagné d'une IRM est réalisé pour vérifier la présence de symptômes.

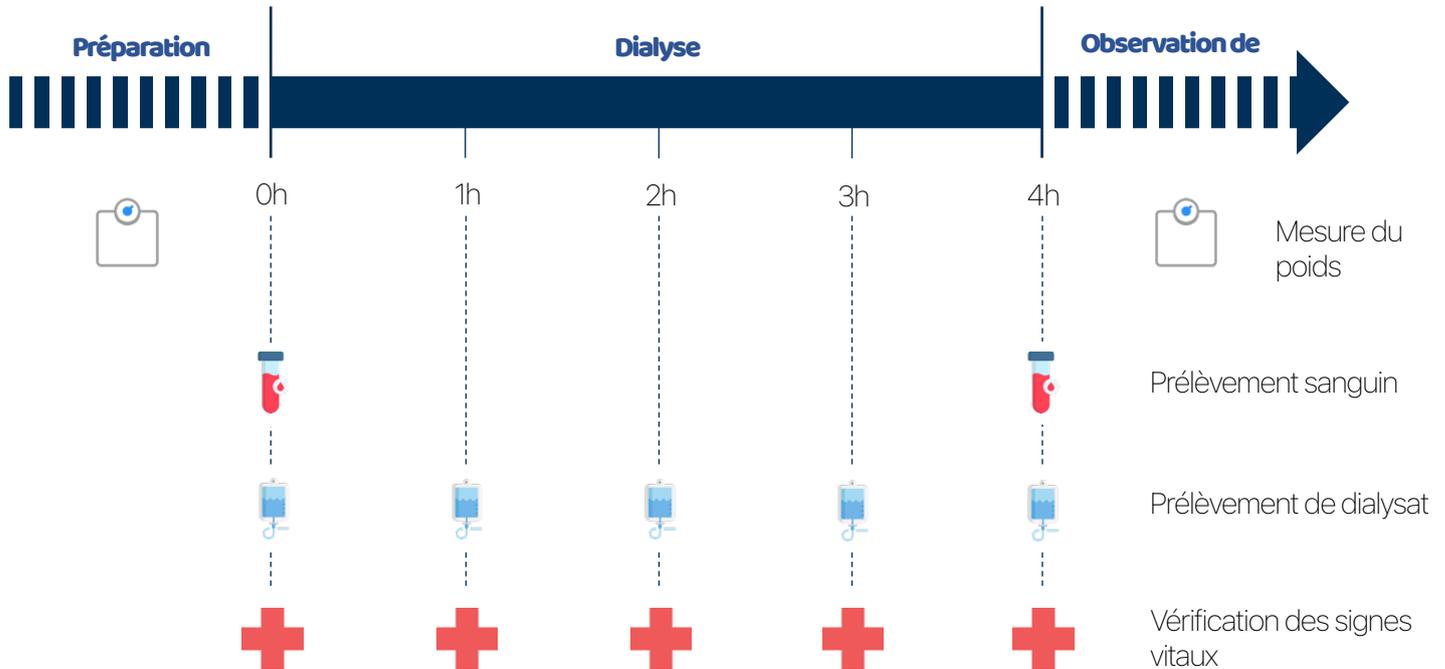
 **Prélèvement de liquide de dialyse** – Le personnel de l'étude prélève régulièrement du liquide de dialyse pour mesurer les taux de cuivre extraits par le dispositif.

Calendrier des activités

Évaluation	Sélection	Période de traitement										Repos		Visite de fin
Jour	-3 à -1	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	+1	+2	+3
Consentement éclairé	x													
Critères d'éligibilité	x													
Test de grossesse (le cas échéant)	x													
Dialyse avec MEX-CD1	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)			
Poids du/de la patient(e)	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)			x
Prélèvement sanguin	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)			x
Signes vitaux	x	x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)			x
Prélèvement de liquide de dialyse		x	x	x	x	x	(x)	(x)	(x)	(x)	(x)			
Évaluation de l'état du foie (avec échographie, le cas échéant)	x													x
Évaluation de l'état neuropsychiatrique (avec IRM, le cas échéant)	x													x
Évaluation de la gravité de la MW	x													x

L'étude MexWils comprend entre 5 et 10 séances de dialyse en fonction de l'état du patient. Le nombre de dialyses est fixé par le médecin et fait varier la durée du traitement de 8 à 13 jours en fonction du nombre de traitements.

Déroulement d'une dialyse



Merci

Encore une fois, nous vous remercions de votre confiance et de votre participation à cette étude. Les recherches comme celle-ci ne pourraient pas avoir lieu sans la participation de volontaires comme vous et nous apprécions votre temps et votre engagement envers l'étude. Si vous avez des questions ou des préoccupations, n'hésitez pas à contacter le personnel de l'étude.

MEXBRAIN