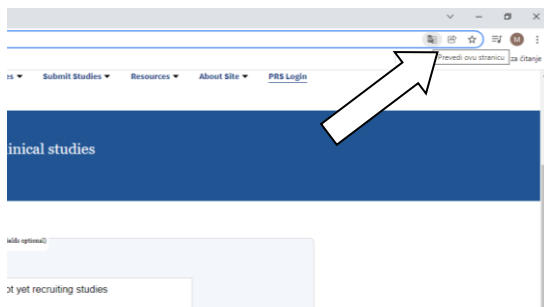


Mišićna distrofija - Upute za traženje kliničkih randomiziranih studija po bolesti i/ili lijekovima

Ove upute su isključivo informativnog karaktera kako bi se pacijenti s mišićnom distrofijom i ostalim bolestima mogli više informirati o vrstama liječenja i mjestima gdje mogu pristupiti kliničkim randomiziranim studijama.

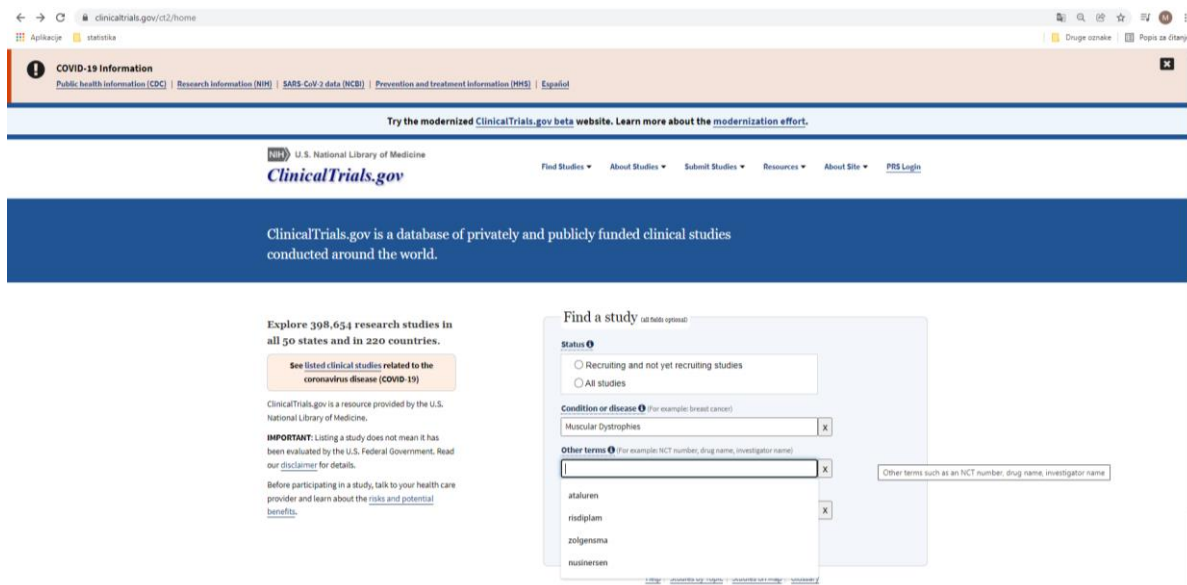
Napravljene su radi povećanja svijesti o bolesti i olakšati pacijentima i članovima obitelji da dođu do informacija koje se studije provode u svijetu o Mišićnoj distrofiji i drugim sličnim bolestima. Savjetujete se s izabranim liječnicima i bolničkim specijalistima dali zadovoljavate uvjete koje studija traži prije nego se odlučite kontaktirati voditelje studija. Budite informirani! Zavod za Javno zdravstvo „Sveti Rok“ Virovitičko podravske županije ne odgovara za posljedice proizašle iz korištenja ovih uputa.

1. Otići na stranicu <https://clinicaltrials.gov/>
2. Ako se ne zna engleski stisnuti u gornjem desnom uglu: Prevedi ovu stranicu (budite oprezni jer prevoditelj nije savršen!)

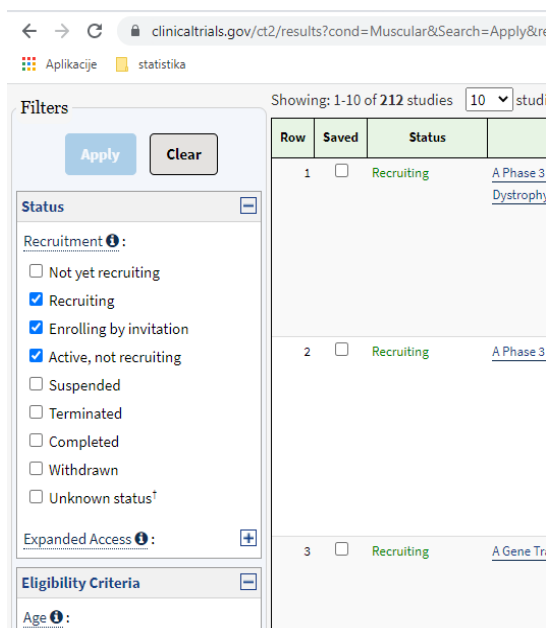


PRETRAŽIVANJE PO BOLESTI

3. Pod stanje ili bolest napisati Muscular i pokazati će Vam Mišićnu distrofiju i ostale specifične distrofije. Odabrati ih. (Moguće je isto pretraživanje po lijeku npr. Nusinersen (Spinraza) ili drugi lijekovi za liječenje Mišićnih distrofija. Zasad ćemo ostaviti to prazno jer nas zanimaju sve terapije pod dijagnozom Mišićne distrofije. Za pretraživanje po lijeku preskočite na PRETRAŽIVANJE PO LIJEKU.



4. Ostaviti ostalo prazno
5. Stisnuti Search (Traži)
6. Odabrati STATUS onih koji primaju pacijente:



7. Odabrati dobne skupine koje ih zanimaju:

Eligibility Criteria

Age *i*:
 years OR

Age Group *i*:
☒ Child (birth-17)
☒ Adult (18-64)
☐ Older Adult (65+)

Sex *i*:
☒ All
☐ Female
☐ Male

☐ Accepts Healthy Volunteers *i*

8. Odabrati fazu istraživanja.

9. Pritisne Apply (Primjeni)

Obavezno se upoznajte s činjenicama da:

Klinička se ispitivanja kategoriziraju u faze od I. do IV., koje se obično opisuju na sljedeći način:

- Faza I. (mali broj sudionika, obično 6 – 10 zdravih dobrovoljaca ili teško bolesnih osoba za koje ne postoje druge mogućnosti liječenja)

Ispitivanja faze I. oblikuju se tako da znanstvenicima i liječnicima omoguće da razumiju učinke ispitivane tvari kod ljudi. Cilj je utvrditi što se događa s ispitivanom tvari u tijelu (apsorpcija, raspodjela u organizmu, putovi i brzina izlučivanja), u smislu njezine sigurnosti i podnošljivosti, nakon unosa u organizam kroz usta, injekcijom ili infuzijom. Pritom se ispitanike nadzire kako bi se otkrile sve popratne pojave i ocijenila njihova težina.

- Faza II. (nakon što se u ispitivanjima faze I. potvrdi početna sigurnost ispitivanog lijeka, provode se ispitivanja faze II. s većim skupinama bolesnika, koje obično uključuju 20 - 300 ispitanika, ovisno o vrsti bolesti)

U ispitivanjima faze II. počinju se ocjenjivati sigurnost i djelotvornost ispitivanog lijeka kod bolesnika, a često se provode i da bi se utvrdilo razlikuju li se učinci različitih doza ispitivanog lijeka. Bolesnicima se daju različite doze lijeka i zatim ih se pažljivo promatra kako bi se usporedili učinci primijenjenih doza i tako utvrdio najsigurniji i najdjelotvorniji način doziranja. U mnogim se slučajevima provodi više ispitivanja faze II. kako bi se ispitivani lijek ocijenio kod mnogih različitih skupina bolesnika ili u različitim indikacijama.

- **Faza III.** (velike skupine bolesnika, obično uključuju 300 – 3000 i više ispitanika, ovisno o bolesti za koju se lijek ispituje)

Ispitivanja faze III. oblikuju se tako da potvrde sigurnost i djelotvornost ispitivanog lijeka. Obično uključuju velik broj bolesnika kako bi se koristi i sigurnost lijeka potvrdile na odgovarajući način. Ta ispitivanja, baš kao i ona u prethodnim fazama, mogu uključivati jednu ili više 'liječenih skupina', što omogućuje usporedbu sigurnosti i djelotvornosti novog lijeka s drugim dostupnim terapijama ili pak ispitivanje primjene toga novog lijeka zajedno s drugim terapijama. Informacije prikupljene u ispitivanjima faze III. koriste se da bi se utvrdio najbolji način propisivanja ispitivanog lijeka bolesnicima u budućnosti.

- **Faza IV.** (poznata i kao ispitivanja radi praćenja nakon stavljanja lijeka u promet)

Ispitivanja faze IV. provode se nakon što lijek dobije odobrenje regulatornih tijela za stavljanje u promet (registraciju), kako bi se prikupilo više informacija o djelotvornosti i sigurnosti novog lijeka kod velikog broja bolesnika i određenih subpopulacija bolesnika, te radi usporedbe i/ili kombinirane primjene toga novog lijeka s drugim dostupnim mogućnostima liječenja. Svrha je tih ispitivanja ocijeniti dugoročne učinke lijeka. U tim se uvjetima mogu otkriti manje česte popratne pojave.

Izvor: <https://www.roche.hr/hr/klinicka-ispitivanja.html>

Napomena: Za fazu 3 postoji mogućnost da pacijenti budu u skupini koja dobiva placebo: sistemski kortikosterod. Vjerojatnost da završi u toj skupini je najčešće 50% i ta vjerojatnost piše većinom u uputama: taj. omjer 1:1 biološki lijek +kortikosteroid: kortikosteroid.

Nakon određenog vremena postoji mogućnost da se pacijenti uključe liječenjem s biološkim lijekom u daljnje praćenje ali to treba ispitati s voditeljem studije. Najčešće ta mogućnost također bude u uputama studije, kao u sljedećem primjeru:

The screenshot shows a clinical trial page for Duchenne Muscular Dystrophy (DMD). The page is titled "Study Details" and includes a "Tabular View" tab. The "Study Description" section provides a brief summary of the trial, which is a global, randomized, double-blind trial of panrevlumab or placebo in combination with systemic corticosteroids in subjects with non-ambulatory Duchenne muscular dystrophy (age 12 years and older). The trial aims to evaluate the efficacy and safety of panrevlumab versus placebo in combination with systemic corticosteroids. The trial has three study periods: Screening period (Up to 4 weeks), Treatment period (52 weeks), and Safety Follow-up period/final assessment (4 weeks (Week 56 (+/-3 days))). The trial is a Phase 3 trial, and the subjects who complete the 52-week study (either arm) may be eligible for rollover into an open label extension treatment (OLE) with panrevlumab + systemic corticosteroids. The "Study Design" section provides details about the trial type (Interventional (Clinical Trial)), estimated enrollment (90 participants), allocation (Randomized), intervention model (Parallel Assignment), masking (Quadruple (Participant, Care Provider, Investigator, Outcomes Assessor)), primary purpose (Treatment), official title (A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Trial of Panrevlumab (PG-3019) or Placebo in Combination With Systemic Corticosteroids in Subjects With Non-ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)), and actual study start date (July 30, 2020).

Condition or disease	Intervention/treatment	Phase
Duchenne Muscular Dystrophy	Drug: Panrevlumab Drug: Placebo	Phase 3

Odnosno isto to prevedeno Google prevoditeljem.

10. Nakon toga pojaviti im će se sljedeći prozor;

Status studije dali trenutno prima pacijente / Za koju bolest je lijek (Važno ako je pretraživano po lijeku bolest može biti druga jer 1 lijek se može koristiti za više lijekova.

Lijekovi koji će se koristiti (ako piše placebo postoji mogućnost da će pacijent biti na placebo terapiji)

11. Stisnuti On Map (Na karti)

Primijenjeni filteri: ☒ Vrbovanje ☒ Aktiviran ne zapošljava ☒ Upis po pozivu ☒ Dijete (rođenje - 17) ☒ odrasli (18-64) ☒ 3. faza ☒ 4. faza

Popis Po temi **Na karti** Pojednostosti pretraživanja

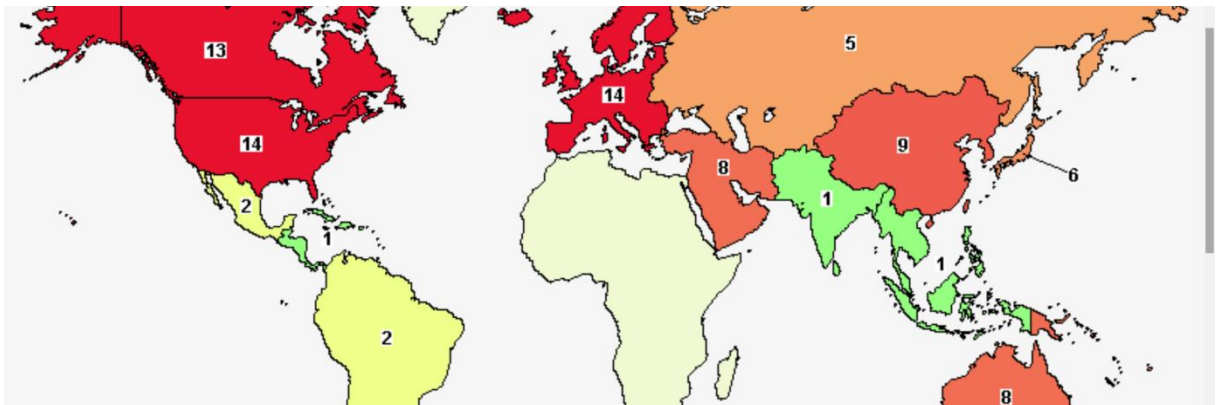
Sakrij filtere

Preuzimanje datoteka Pretplatite se na RSS Prikaz/sakrij stupce

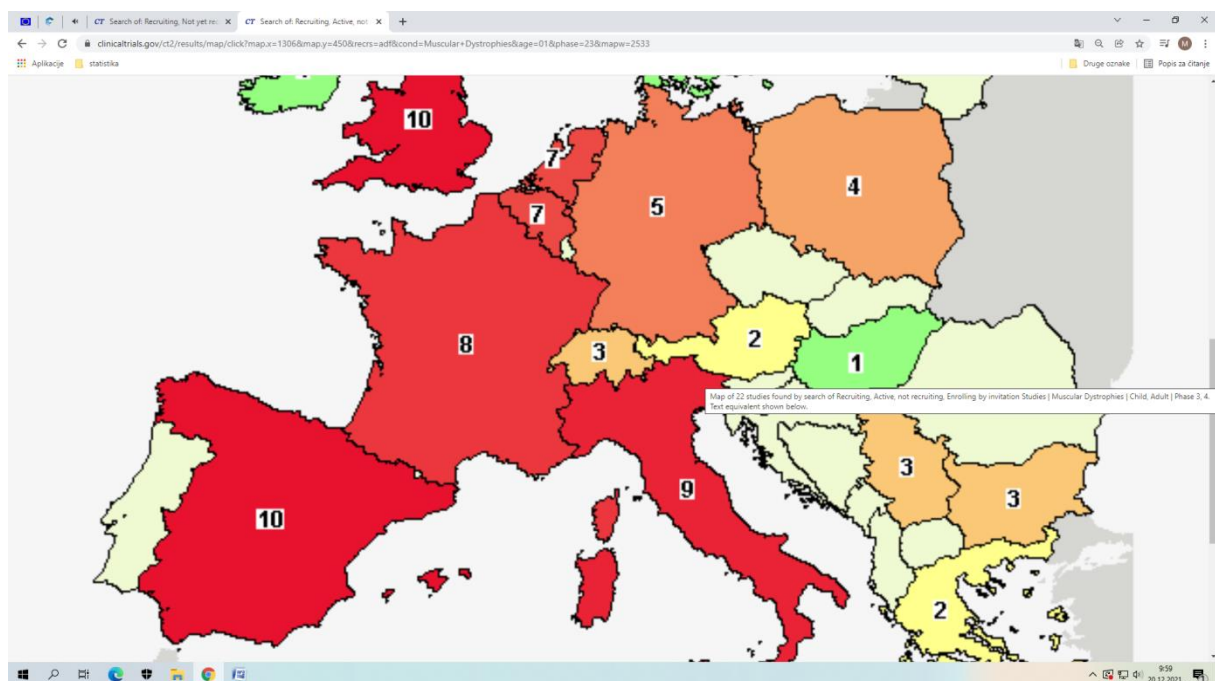
Prikazano: 1-10 od 209 studija 10 studija po stranici

Red	Spremljeno	Status	Naslov studija	Učjeti	Intervencije	Lokacije
1	☐	Upis po pozivu	Produžena studija za procjenu Casimersena ili Golodrisana u bolesnika s Duchennemovom mišićnom distrofijom	Duchennemova mišićna distrofija	Lijek: Casimersen Lijek: Golodrisen	Neuromuscular Research Center Phoenix, Arizona, Sjedinjene Američke Države Dječja bolnica Los Angeles Los Angeles, Kalifornija, Sjedinjene Američke Države University of California Los Angeles Los Angeles, Kalifornija, Sjedinjene Američke Države (i još 43...)
2	☐	Vrbovanje	Studija faze 3 za procjenu sigurnosti i učinkovitosti PF-06939926 za liječenje Duchennemove mišićne distrofije	Duchennemova mišićna distrofija	Genetika: PF-06939926 Ostalo: placebo	UZ Gent Gent, Belgija Dječja bolnica Alberta Calgary, Alberta, Kanada Dječji i ženski zdravstveni centar Britanske Kolumbije Vancouver, Britanska Kolumbija, Kanada

12. Prikazati će se države gdje se sve ove studije provode



13. Jedan klik na Europu i otvoriti će se sljedeće:



14. Odabrati državu u kojoj želite vidjeti studije. Npr. Mađarska

Apkacije statistika Druge oznake Poveži sa Otkrivanje

Condition or disease Muscular Dystrophies X
Country X

Search Advanced Search

1 Study found for: Recruiting, Active, not recruiting, Enrolling by invitation Studies | Muscular Dystrophies | (Map Hungary) | Child, Adult | Phase 3, 4
Applied Filters: ☒ Recruiting ☒ Active not recruiting ☒ Enrolling by invitation ☒ Child (birth-17) ☒ Adult (18-64) ☒ Phase 3 ☒ Phase 4

Not enough studies found? Try these [search suggestions](#)

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters Download Subscribe to RSS Show/Hide Columns

Filters

Apply Clear

Status

☐ Not yet recruiting
☒ Recruiting
☒ Enrolling by invitation
☒ Active, not recruiting
☐ Suspended
☐ Terminated
☐ Completed
☐ Withdrawn
☐ Unknown status?

Expanded Access

Eligibility Criteria

Age 0 years or

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Recruiting	Study of SRP-4045 and SRP-4053 in Participants With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	Duchenne Muscular Dystrophy	- Drug: SRP-4045 - Drug: SRP-4053 - Drug: Placebo	- Neuromuscular Research Center, Phoenix, Arizona, United States - Children's Hospital Los Angeles, Los Angeles, California, United States - David Geffen School of Medicine, UCLA, Los Angeles, California, United States (and 64 more...)

20.12.2021.

15. Vidimo da postoji jedna studija s tri skupine ispitanika od koje će 2 dobiti lijek na ispitivanju a jedna placebo. Stisnuti poveznicu za detaljne informacije.

Apkacije statistika Druge oznake Poveži sa Otkrivanje

Information from the National Library of Medicine

Choosing to participate in a study is an important personal decision. Talk with your doctor and family members or friends about deciding to join a study. To learn more about this study, you or your doctor may contact the study research staff using the contacts provided below. For general information, [Learn About Clinical Studies](#).

Ages Eligible for Study: 6 Years to 13 Years (Child)
Sexes Eligible for Study: Male
Accepts Healthy Volunteers: No

Criteria

Inclusion Criteria:

- Genotypically confirmed DMD, with genetic deletion amenable to exon 43 or exon 53 skipping
- Stable dose of oral corticosteroids for at least 24 weeks prior to Week 1, and the dose is expected to remain constant throughout the study (except for modifications to accommodate changes in weight).
- Intact right and left biceps or 2 alternative upper muscle groups
- Mean 6HWT ≥ 300 meters and ≥ 450 meters
- Stable pulmonary function: forced vital capacity (FVC) $\geq 50\%$ predicted

Exclusion Criteria:

- Treatment with gene therapy at any time
- Previous treatment with SMN2 C130 within 1 week prior to Week 1 and previous treatment with PRO045 (BMN 045), PRO053 (BMN 053), or PRO051 (BMN 051) within 24 weeks prior to Week 1
- Current or previous treatment with any other experimental treatment within 12 weeks prior to Week 1
- Major surgery within 3 months prior to Week 1
- Presence of other clinically significant illness

Other inclusion/exclusion criteria may apply.

Contacts and Locations

Go to

Information from the National Library of Medicine

To learn more about this study, you or your doctor may contact the study research staff using the contact information provided by the sponsor.

Please refer to this study by its ClinicalTrials.gov identifier (NCT number): **NCT02500381**

Contacts

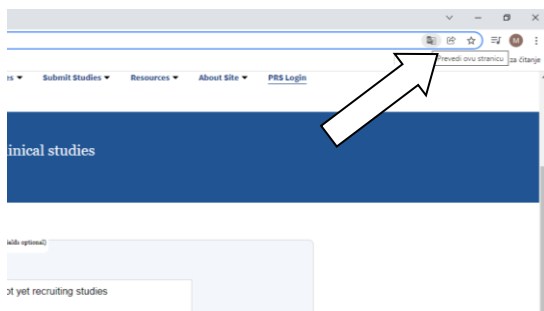
Contact: Medical Information [1-800-669-5008](tel:1-800-669-5008) clinicaltrials@arepta.com

16. Prikaže se broj voditelja studije i e-mail koje se može nazvati i pisati za uključanje u studiju.

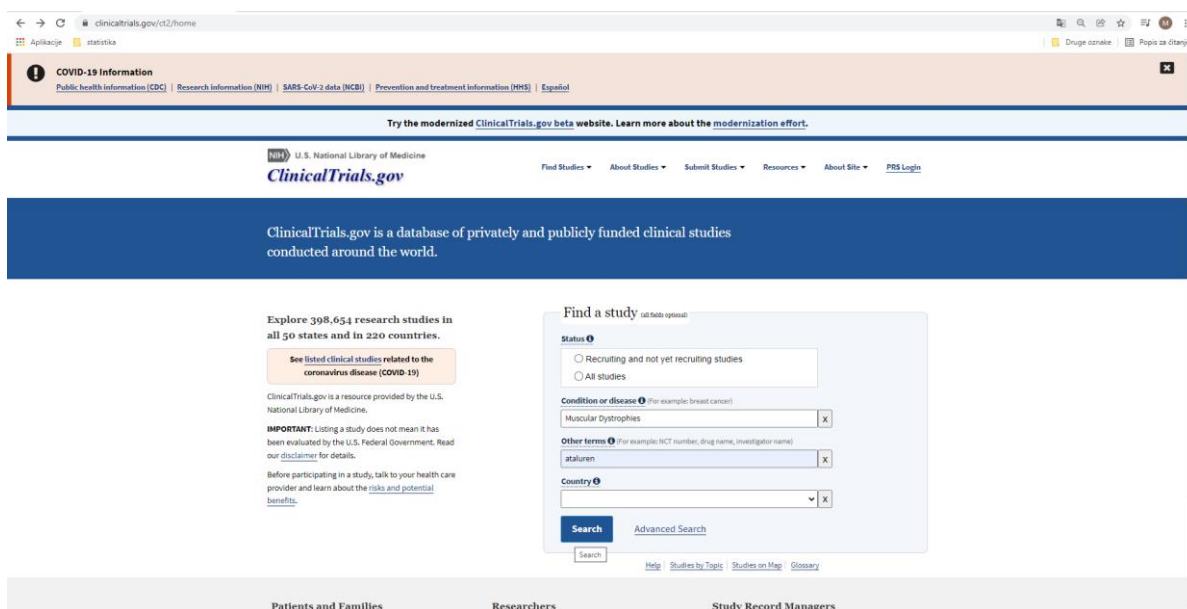
Preporučam da se angažira bolnički liječnika koji liječi bolest za dogovaranje uključivanja u studiju radi dodatnog pojašnjenja kakva je to studije i što se može očekivati.

PRETRAŽIVANJE PO LIJEKU

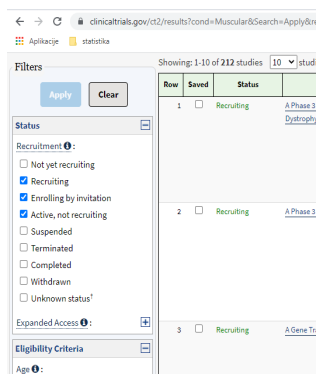
1. otići nas stranicu <https://clinicaltrials.gov/>
2. Ako ne znaju engleski stisnuti u gornjem desnom uglu: Prevedi ovu stranicu



- Uz mišićne distrofije (Muscular Dystrophies) označite i lijek koji Vas zanima npr. Ataluren (Translarna™) ili neki drugi koji Vas zanima



- pritisnite Search (traži)
- Odabrali STATUS onih koji primaju pacijente:



- Odabrali dobne skupine koje ih zanimaju:

7. Odabрати fazu istraživanja.

8. Pritisne Apply (Primjeni)

Obavezno ih je upoznati s činjenicama da:

Klinička se ispitivanja kategoriziraju u faze od I. do IV., koje se obično opisuju na sljedeći način:

- Faza I. (mali broj sudionika, obično 6 – 10 zdravih dobrovoljaca ili teško bolesnih osoba za koje ne postoje druge mogućnosti liječenja)

Ispitivanja faze I. oblikuju se tako da znanstvenicima i liječnicima omoguće da razumiju učinke ispitivane tvari kod ljudi. Cilj je utvrditi što se događa s ispitivanom tvari u tijelu (apsorpcija, raspodjela u organizmu, putovi i brzina izlučivanja), u smislu njezine sigurnosti i podnošljivosti, nakon unosa u organizam kroz usta, injekcijom ili infuzijom. Pritom se ispitanike nadzire kako bi se otkrile sve popratne pojave i ocijenila njihova težina.

- Faza II. (nakon što se u ispitivanjima faze I. potvrdi početna sigurnost ispitivanog lijeka, provode se ispitivanja faze II. s većim skupinama bolesnika, koje obično uključuju 20 - 300 ispitanika, ovisno o vrsti bolesti)

U ispitivanjima faze II. počinju se ocjenjivati sigurnost i djelotvornost ispitivanog lijeka kod bolesnika, a često se provode i da bi se utvrdilo razlikuju li se učinci različitih doza ispitivanog lijeka. Bolesnicima se daju različite doze lijeka i zatim ih se pažljivo promatra kako bi se usporedili učinci primijenjenih doza i tako utvrdio najsigurniji i najdjelotvorniji način doziranja. U mnogim se slučajevima provodi više ispitivanja faze II. kako bi se ispitivani lijek ocijenio kod mnogih različitih skupina bolesnika ili u različitim indikacijama.

- **Faza III.** (velike skupine bolesnika, obično uključuju 300 – 3000 i više ispitanika, ovisno o bolesti za koju se lijek ispituje)

Ispitivanja faze III. oblikuju se tako da potvrde sigurnost i djelotvornost ispitivanog lijeka. Obično uključuju velik broj bolesnika kako bi se koristi i sigurnost lijeka potvrdile na odgovarajući način. Ta ispitivanja, baš kao i ona u prethodnim fazama, mogu uključivati jednu ili više 'liječenih skupina', što omogućuje usporedbu sigurnosti i djelotvornosti novog lijeka s drugim dostupnim terapijama ili pak ispitivanje primjene toga novog lijeka zajedno s drugim terapijama. Informacije prikupljene u ispitivanjima faze III. koriste se da bi se utvrdio najbolji način propisivanja ispitivanog lijeka bolesnicima u budućnosti.

- **Faza IV.** (poznata i kao ispitivanja radi praćenja nakon stavljanja lijeka u promet)

Ispitivanja faze IV. provode se nakon što lijek dobije odobrenje regulatornih tijela za stavljanje u promet (registraciju), kako bi se prikupilo više informacija o djelotvornosti i sigurnosti novog lijeka kod velikog broja bolesnika i određenih subpopulacija bolesnika, te radi usporedbe i/ili kombinirane primjene toga novog lijeka s drugim dostupnim mogućnostima liječenja. Svrha je tih ispitivanja ocijeniti dugoročne učinke lijeka. U tim se uvjetima mogu otkriti manje česte popratne pojave.

Izvor: <https://www.roche.hr/hr/klinicka-ispitivanja.html>

Za fazu 3 postoji mogućnost da pacijenti budu u skupini koja dobiva placebo: sistemski kortikosterod. Vjerojatnost da završi u toj skupini je najčešće 50% i ta vjerojatnost piše većinom u uputama: tj. omjer 1:1 biološki lijek +korikosteroid: kortikosteroid.

Nakon određenog vremena postoji mogućnost da se pacijenti uključe liječenjem s biološkim lijekom u daljnje praćenje ali to treba ispitati s voditeljem studije. Najčešće ta mogućnost također bude u uputama studije, kao u sljedećem primjeru:

The screenshot shows a clinical trial page for Duchenne Muscular Dystrophy (DMD). The page is titled "Study Details" and includes a "Tabular View" tab. The "Study Description" section provides a brief summary of the trial: "To evaluate the efficacy and safety of pamrevumab versus placebo in combination with systemic corticosteroids in subjects with non-ambulatory Duchenne muscular dystrophy (age 12 years and older)." A table below this summary lists the condition (Duchenne Muscular Dystrophy), the intervention/treatment (Drug: Pamrevumab, Drug: Placebo), and the phase (Phase 3). The "Detailed Description" section provides further information about the trial, including the study design (global, randomized, double-blind), the subjects (approximately 90 male subjects), and the treatment period (52 weeks). It also mentions that subjects who complete the 52-week study (either arm) may be eligible for rollover into an open-label extension treatment (OLE) with pamrevumab + systemic corticosteroids. The "Study Design" section lists the study type (Interventional (Clinical Trial)), estimated enrollment (90 participants), allocation (Randomized), intervention model (Parallel Assignment), masking (Quadruple (Participant, Care Provider, Investigator, Outcomes Assessor)), primary purpose (Treatment), official title (A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Trial of Pamrevumab (FG-3019) or Placebo in Combination With Systemic Corticosteroids in Subjects With Non-ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)), and actual study start date (July 30, 2020).

Condition or disease	Intervention/treatment	Phase
Duchenne Muscular Dystrophy	Drug: Pamrevumab Drug: Placebo	Phase 3

Odnosno isto to prevedeno Google prevoditeljom.

9. Nakon toga pojaviti im će se sljedeći prozor;

10. Stisnite On map/Na karti i prikazati će Vam se karta svijeta.



clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=Muscular+Dystrophies&term=atauren&cntry=&state=&city=&dist=

COVID-19 Information
Public health information (CDC) | Research information (NIH) | SARS-CoV-2 data (NCBI) | Prevention and treatment information (HHS) | Español

Try the modernized ClinicalTrials.gov beta website. Learn more about the modernization effort.

U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies | About Studies | Submit Studies | Resources | About Site | PDS Login

Home | Search Results

Modify Search | Start Over

16 Studies found for **atauren | Muscular Dystrophies**
Also searched for **PTC 124**. See Search Details

List | By Topic | On Map | Search Details

Hide Filters | Download | Subscribe to RSS | Show/Hide Columns

Showing 1-10 of 16 studies | 10 studies per page

Row	Save	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Terminated Has Results	Phase 2a Extension Study of Ataluren (PTC124) in Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	Duchenne Muscular Dystrophy	Drug: Ataluren	Cincinnati Children's Hospital Medical Center Cincinnati, Ohio, United States Children's Hospital of Philadelphia Philadelphia, Pennsylvania, United States University of Utah Salt Lake City, Utah, United States
2	☐	Recruiting Has Results	A Study to Evaluate the Safety and Pharmacokinetics of Ataluren in Participants From 6 Months to <2 Years of Age With Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy (nmDMD)	Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy	Drug: Ataluren	Rare Disease Research, LLC Atlanta, Georgia, United States
3	☐	Completed Has Results	A Study to Assess Dystrophin Levels in Participants With Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy (nmDMD) Who Have Been Treated With Ataluren	Duchenne Muscular Dystrophy	Other: Dystrophin levels Drug: Ataluren	University of California, Los Angeles (UCLA) Los Angeles, California, United States
4	☐	Terminated Has Results	Phase 2b Extension Study of Ataluren (PTC124) in Duchenne/Becker Muscular Dystrophy (DMD/BMD)	Duchenne Muscular Dystrophy Becker Muscular Dystrophy	Drug: Ataluren	University of California - Davis Sacramento, California, United States Department of Rehabilitation, The Children's Hospital Aurora, Colorado, United States Child Neurology Center of the Florida Gulf Breeze, Florida, United States (and 34 more...)

Filters

Apply | Clear

Status

Recruitment

☐ Not yet recruiting

☒ Recruiting

☐ Enrolling by invitation

☐ Active, not recruiting

☐ Suspended

☐ Terminated

☐ Completed

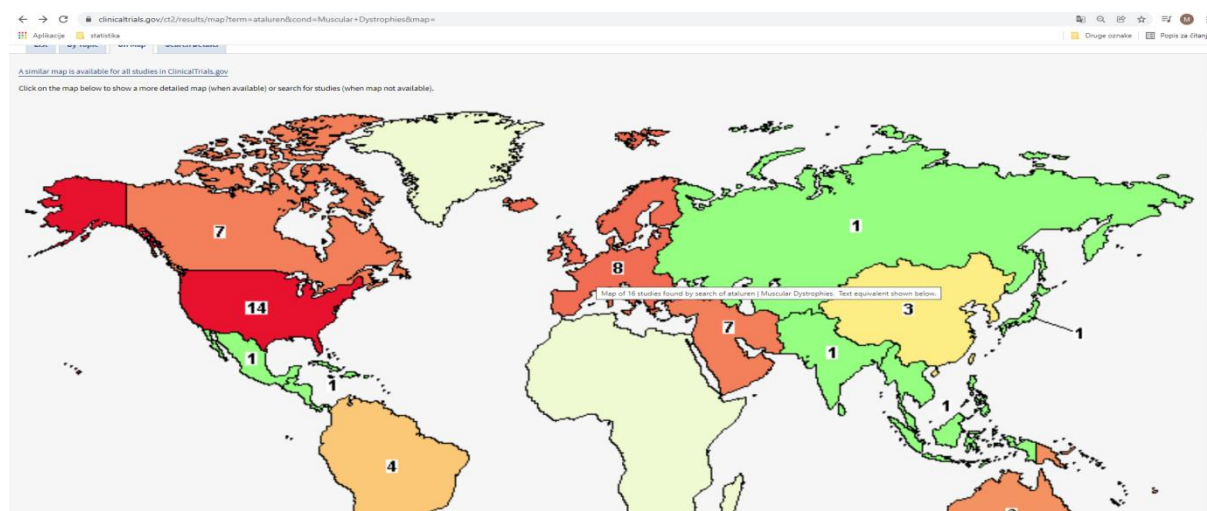
☐ Withdrawn

☐ Unknown status?

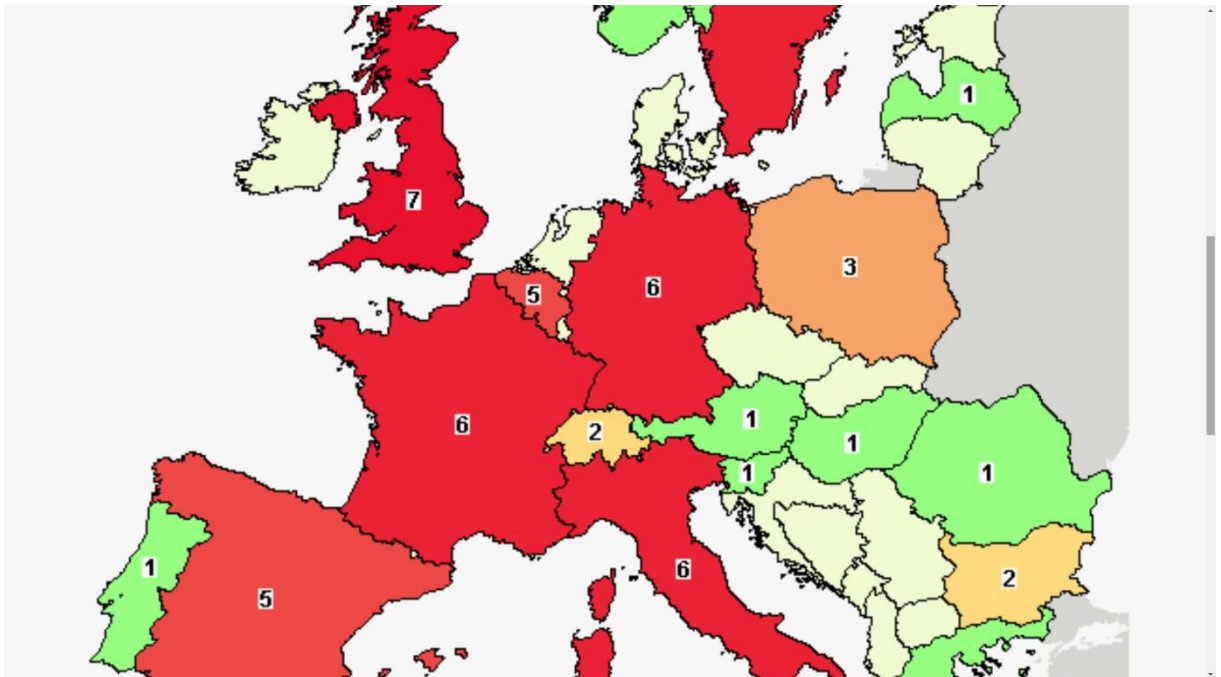
Expanded Access

Eligibility Criteria

11. Stisnite Europu koja ima trenutno 8 studija.



12. Zelenom bojom su prikazane zemlje gdje se primaju pacijenti.



13. Stisnimo npr. na Sloveniju gdje vidimo da ima 1 studija i dobit ćemo sljedeće:

Try the modernized ClinicalTrials.gov beta website. Learn more about the modernization effort.

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies About Studies Submit Studies Resources About Site PBS Login

Home Search Results

Modify Search Start Over

1 Study found for: **atauren** | Muscular Dystrophies | (Map: Slovenia)

Not enough studies found? Try these [search suggestions](#)

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters

Download Subscribe to RSS Show/Hide Columns

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Recruiting	Registry of Translational (Ataluren) in Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy (nmDMG)	Muscular Dystrophy, Duchenne		- Krankenhaus der Barmherzigen Schwestern Linz, Austria - Sozialmedizinisches Zentrum Süd Kaiser-Franz-Josef-Spital mit Gottfried-von-Preyer'schen Kinderspital, Wien, Austria - Hospital das Clinicas da Universidade de São Paulo, São Paulo, Brazil (and 68 more...)

Filters

Apply Clear

Status

Recruitment

☐ Not yet recruiting
☐ Recruiting
☐ Enrolling by invitation
☐ Active, not recruiting
☐ Suspended
☐ Terminated
☐ Completed

14. Otvorimo poveznicu i vidimo stranicu puno podataka o studiji i kontaktima; Prikaže se broj voditelja studije i e-mail koje se može nazvati i pisati za uključenje u studiju.

clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02369731?term=atauren&cond=Muscular+Dystrophies&map_entry=5&draw=2&rank=1

Apkacije statistika

Douge coraie Popis za Otanje

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02369731

Recruitment Status: Recruiting
First Posted: February 24, 2015
Last Update Posted: December 1, 2021
See Contacts and Locations

Podaci o statusu i lokacijama te kontaktu za studiju

Sponsor:
PTC Therapeutics

Collaborators:
The John Walton Muscular Dystrophy Research Centre (TREAT-NMD)
Cooperative International Neuromuscular Research Group

Information provided by (Responsible Party):
PTC Therapeutics

Study Details Tabular View No Results Posted Disclaimer How to Read a Study Record

Study Description

Brief Summary:
This study is being performed as a post-marketing surveillance study (EMA), to gather data on **Translarna (atauren)** safety, effectiveness, and prescription patterns in routine clinical practice.

Dodatne informacije.

Detailed Description:
This is a multicenter, observational study of participants across ~60 care centers in Europe and other regions over a period of ~2 years. The study population will include participants who are receiving usual care treatment with commercial supply of Translarna (or receiving care within a named participant early access program) and who provide consent. Participants will be followed for at least 5 years from their date of enrollment. Safety and efficacy data will be collected in conjunction with routine visits conducted as per usual care. Although there are no protocol-mandated procedures, it is expected that physicians and other caregivers will follow published treatment guidelines and standards of care.

Study Design

Study Type: Observational (Patient Registry)
Estimated Enrollment: 360 participants
Observational Model: Cohort
Time Perspective: Prospective
Target Follow-Up Duration: 5 Years
Official Title: Long-Term Observational Study of **Translarna** Safety and Effectiveness in Usual Care
Actual Study Start Date: April 30, 2015
Estimated Primary Completion Date: May 30, 2025
Estimated Study Completion Date: May 30, 2025

Dokad traje studija

15. Preporučam da se angažira bolnički liječnik koji liječi bolest za dogovaranje uključivanja u studiju radi dodatnog pojašnjenja kakva je to studije i što se može očekivati.

Ove upute su informativnog karaktera kako bi se pacijenti s mišićnom distrofijom sami mogli informirati o vrstama liječenja i mjestima gdje mogu pristupiti kliničkim randomiziranim studijama.

Miodrag Beneš., dr.med., specijalist javnozdravstvene medicine