

Qué pueden esperar los participantes del estudio

Las personas que sean elegibles para el estudio y decidan participar recibirán:

- La opción de unirse al estudio de extensión abierto (OLE) después de completar el estudio donde todos los participantes recibirán el medicamento en investigación

Para ayudar a tomar una decisión informada sobre si participar o no en este estudio, los posibles participantes pasarán por un proceso llamado consentimiento informado. El proceso de consentimiento informado revisará lo que implica participar en el estudio y los posibles riesgos y beneficios. El participante puede abandonar el estudio en cualquier momento y por cualquier motivo.

Para obtener más información sobre este estudio o para saber si usted, su hijo o un ser querido cumplen los requisitos, visite el sitio web del estudio Skyline en skyline-study.com o clinicaltrials.takeda.com.



Una persona puede calificar para el estudio Skyline si él/ella:

- Tiene entre 2 y 21 años
- Ha sido diagnosticado con síndrome de Dravet
- Ha tenido 4 o más convulsiones cada mes durante los últimos 3 meses
- Ha sido incapaz de controlar las convulsiones con al menos 2 medicamentos anticonvulsivantes en el pasado

El personal determinará si puede participar en función de otros criterios.

¿Qué es el síndrome de Dravet?

El síndrome de Dravet (SD) es un síndrome epiléptico poco común causado con mayor frecuencia por una mutación genética. El síndrome generalmente comienza durante la infancia o la primera infancia y se caracteriza por convulsiones focales prolongadas que pueden evolucionar a otros tipos de convulsiones. Las personas con síndrome de Dravet suelen tener resistencia a los medicamentos anticonvulsivantes, lo que genera una disponibilidad limitada de opciones de tratamiento.



Sobre el estudio Skyline

El estudio Skyline es un estudio de investigación clínica de fase 3 de un medicamento en fase de investigación para niños, adolescentes y adultos jóvenes diagnosticados con síndrome de Dravet que actualmente usan medicamentos anticonvulsivantes para controlar los síntomas y aún experimentan convulsiones. El medicamento en investigación, Soticlestat, funciona de manera diferente a los medicamentos aprobados actualmente y se está probando como terapia complementaria en el estudio de investigación clínica.

El objetivo del estudio de investigación clínica de fase 3 es evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad del medicamento en investigación cuando se toma con otros tratamientos anticonvulsivantes. En estudios de investigación clínica anteriores, se ha demostrado que el medicamento en investigación reduce la cantidad de convulsiones en los participantes del estudio.

Durante el estudio, los participantes se dividirán en dos grupos: uno recibirá el fármaco del estudio y el otro recibirá un placebo (se parece al fármaco del estudio pero no contiene ingredientes activos). Después de completar el estudio, los participantes pueden unirse al estudio de extensión abierto (OLE) donde cada participante recibirá el medicamento del estudio.

La participación en el estudio incluye:

- Hasta 5 visitas de estudio planificadas en persona
- Aproximadamente 25 semanas de participación en el estudio

¿Qué sucederá durante el estudio?

- Selección (4-6 semanas): Durante la selección, se determinará si usted, su hijo o un ser querido califica para el estudio.
- Período de titulación (4 semanas): Durante la primera visita del período de titulación de cuatro semanas, los participantes serán asignados al azar a uno de dos grupos. Un grupo recibirá el fármaco del estudio y un grupo recibirá un placebo. El placebo se verá como el fármaco del estudio pero no tendrá ingredientes activos. La titulación es el proceso de ajustar una dosis de medicamento para determinar la dosis que una persona puede tolerar. Durante las cuatro semanas, los participantes recibirán el fármaco del estudio o un placebo en dosis mayores. La dosis se incrementará durante el período de titulación siempre que los participantes no tengan problemas de tolerabilidad. Si los participantes no pueden tolerar la dosis mínima, suspenderán el estudio.
- Período de mantenimiento (12 semanas): La dosis que recibe un participante al final del período de titulación se tomará durante el período de mantenimiento de 12 semanas. Todos los participantes pueden tener la opción de unirse al estudio de extensión abierto (OLE) después de completar el período de mantenimiento (según los criterios de selección para el estudio OLE). Durante el estudio OLE, todos los participantes (incluidos los que recibieron un placebo) tomarán el fármaco en investigación.
- Seguimiento (3 semanas): Los participantes que no se unan al estudio OLE reducirán gradualmente el medicamento del estudio durante una semana y completarán una visita de seguimiento de seguridad o una llamada telefónica aproximadamente dos semanas después de recibir su última dosis del medicamento del estudio.