

## Was ist eine klinische Forschungsstudie?

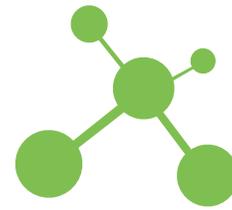
Eine klinische Forschungsstudie ist eine wissenschaftliche Studie, in der die Teilnehmer ein oder mehrere Prüfmedikament(e) erhalten, um Fragen zum Arzneimittel zu beantworten, um festzustellen, ob es wirkt, besser als andere Behandlungen wirkt und ob es Nebenwirkungen hat.

## Was ist ein Prüfmedikament?

Ein Prüfmedikament ist eine Substanz, die in klinischen Forschungsstudien getestet wird. Es wurde von einer Ethikkommission zur Prüfung am Menschen überprüft und ist nicht von der Gesundheitsbehörde für die Behandlung dieser Krankheit zugelassen.

## Warum sollte ich an dieser Studie teilnehmen?

Klinische Forschungsstudien sind wichtig für den medizinischen Fortschritt. Die gegenwärtigen Therapien für Krankheiten sind nur dank freiwilliger Teilnehmer an Forschungsstudien verfügbar.



Vielen Dank für Ihr Interesse an dieser klinischen Forschungsstudie zu Mukoviszidose.

Wenn Sie weitere Informationen wünschen, kontaktieren Sie bitte:

[patient-information@eloxxpharma.com](mailto:patient-information@eloxxpharma.com)



EL-004\_Patient\_Brochure\_v1\_5Mar2020\_German

# Leiden Sie an Mukoviszidose?

Fragen Sie Ihren Arzt, ob Sie für die Eloxx-Mukoviszidose-Studie geeignet sind.

PRÜFPLANNUMMER: EL-004



## Warum ist diese Studie von Bedeutung?

Bei Mukoviszidose handelt es sich um eine häufige und schwerwiegende genetische Erkrankung. Es gibt viele verschiedene Genmutationen, die eine Rolle bei der Entwicklung von Mukoviszidose spielen und die Mutationstypen, die eine Person aufweist, können einen Einfluss darauf haben, welche Behandlungen zur Bekämpfung der Mukoviszidose wirken. Bei Personen mit Mukoviszidose, die eine Genmutation namens G542X aufweisen, stehen derzeit nur wenige Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung und diese sind nicht sehr wirksam. Forscher untersuchen weiter verschiedene Medikamente für diese Personen, die zusätzliche und wirksamere Therapien benötigen.

Pharmaunternehmen führen klinische Forschungsstudien wie diese durch, um mehr über in der Erprobung befindliche Medikamente zu erfahren, bevor sie der Öffentlichkeit zugänglich gemacht werden. Freiwillige Studienteilnehmer können Eloxx bei dieser wichtigen Forschung helfen. Vielen Dank, dass Sie eine Teilnahme an dieser Studie in Betracht ziehen.

## Welchen Zweck hat diese Studie?

Bei dieser Studie untersuchen Forscher eine mögliche Behandlung von Mukoviszidose bei Personen mit einer G542X-Mutation. Sie möchten herausfinden, ob das Prüfmedikament ELX-02 sicher ist, wie viel eine Person davon einnehmen kann (die „Dosisstufe“) ohne zu viele Nebenwirkungen zu erleiden und wie es sich im Körper verhält.

## Wer kann an dieser Studie teilnehmen?

Um an dieser Studie teilnehmen zu können, müssen Sie folgende Kriterien erfüllen:

- mindestens 18 Jahre alt sein
- Diagnose von Mukoviszidose mit einer G542X-Mutation

Dies ist keine vollständige Liste der Eignungsvoraussetzungen. Der Studienarzt wird die vollständige Liste der Voraussetzungen gemeinsam mit Ihnen durchgehen.

## Wie lange dauert die Studie?

Es wird davon ausgegangen, dass die Dauer der Teilnahme an dieser Studie mindestens 15 Wochen, bestehend aus einer 6-wöchigen Screeningphase, einer 5-wöchigen Behandlungsphase und einer 4-wöchigen Nachbeobachtungsphase, beträgt. Die Zeitspanne zwischen den Behandlungsphasen wird so gering wie möglich gehalten.

## Was erwartet mich, wenn ich mich für die Teilnahme entscheide?

Wenn Sie einwilligen an dieser Studie teilzunehmen und für den Einschluss geeignet sind, erhalten Sie das Prüfmedikament ELX-02 für insgesamt 5 Wochen. Während der ersten drei Wochen wird die Dosisstufe von ELX-02 wöchentlich erhöht. Basierend auf der Schwere der Nebenwirkungen, die bei Ihnen während der ersten 3 Wochen der Studienbehandlung aufgetreten sind, bestimmt dann der Studienarzt die geeignete Dosis, die Sie während der verbleibenden 2 Wochen erhalten.

Sie erhalten ELX-02 als Injektion unter die Oberfläche der Haut. Dies wird als eine subkutane Injektion bezeichnet. Bei Ihrem ersten Besuch im Studienzentrum wird Ihnen gezeigt, wie Sie sich selbst die Injektion verabreichen. Ihr Betreuer / Familienmitglied kann auch eingewiesen werden, wie Ihnen die Injektion zu verabreichen ist. Einige der Injektionen werden bei Ihnen zu Hause verabreicht und einige an der Studienklinik.

Während dieser Studie sind für Sie 15 Besuche an der Studienklinik geplant (einschließlich der Screening- und Nachbeobachtungsbesuche). Bei den Besuchen in der Klinik werden Labortests, eine körperliche Untersuchung und andere Beurteilungen durchgeführt und Fragebögen zur Beantwortung vorgelegt. Nicht alle Maßnahmen werden bei jedem Besuch durchgeführt.

## Welche Kosten entstehen mir durch die Studienteilnahme?

Sie müssen nichts für das Prüfmedikament, Verbrauchsmaterialien, Studienbesuche oder Untersuchungen im Rahmen dieser klinischen Forschungsstudie bezahlen.

## Welche Risiken sind mit einer Teilnahme verbunden?

Jede Teilnahme an einer klinischen Forschungsstudie ist mit potenziellen Risiken verbunden. Ihr Studienarzt wird die Risiken mit Ihnen besprechen, und Sie werden während der gesamten Studie eingehend beobachtet.

