



Ein Leitfaden zur klinischen Studie **GATEWAY**

Was muss ich wissen?

In dieser Broschüre wird Ihnen erklärt, was Sie im Zusammenhang mit Ihrer Teilnahme an der Studie GATEWAY erwartet.

Diese Broschüre ersetzt nicht die Einwilligungserklärung oder fachliche medizinische Beratung. Bitte lesen Sie die Einwilligungserklärung und holen Sie immer den Rat Ihres Arztes oder eines anderen qualifizierten Gesundheitsdienstleisters ein.

In dieser Broschüre finden Sie wichtige Informationen zur Studie GATEWAY, einschließlich Informationen zum allgemeinen Aufbau der Studie, eines Zeitplans für die Studienbesuche und Informationen zu den Untersuchungen, die auf Sie zukommen. Die Broschüre ersetzt nicht die Einwilligungserklärung oder den Rat Ihres Prüfarztes.



Wenn Sie daran interessiert sind, an der Studie teilzunehmen, lesen Sie bitte sorgfältig die Einwilligungserklärung, da diese mehr Informationen enthält. Wenn Sie Fragen haben oder etwas in Bezug auf die Studie nicht verstehen, sprechen Sie bitte mit Ihrem Prüfarzt und anderen Mitgliedern des Studienpersonals.

Die Studie wurde sorgfältig von Experten im Bereich Wilson-Krankheit vorbereitet und von den zuständigen Gesundheitsbehörden, unabhängigen Ethikkommissionen und institutionellen Prüfungskommissionen genehmigt. Diese sind dafür zuständig, Ihre Sicherheit, Ihr Wohlbefinden und Ihre Rechte zu schützen.

Was ist der Zweck der klinischen Studie GATEWAY?

Bei der Behandlung der Wilson-Krankheit werden zwar Kupferchelatoren und Zinksalz eingesetzt, aber es besteht ein Bedarf an verbesserten Behandlungsoptionen. Die Studie GATEWAY hat das Ziel, herauszufinden, ob das Prüfpräparat VTX-801 eine Behandlungsoption für Patienten mit Wilson-Krankheit sein kann. In dieser Studie werden die Sicherheit, die richtige Dosis sowie die Fähigkeit von VTX-801, die übermäßige Anreicherung von Kupfer im Körper zu entfernen und zu verhindern, beurteilt. Dies ist die erste Studie zu VTX-801 beim Menschen.

„Prüfpräparat“ bedeutet, dass VTX-801 von den zuständigen Gesundheitsbehörden für die Anwendung außerhalb klinischer Studien noch nicht zugelassen ist.

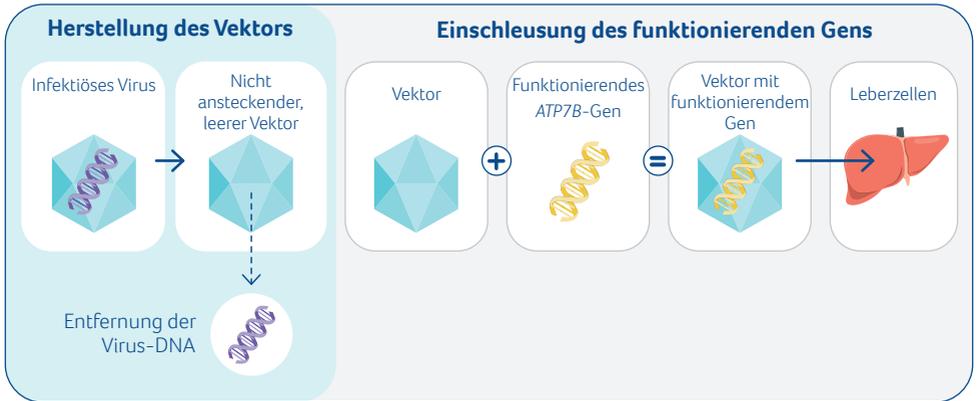


Was ist VTX-801 und wie wirkt es?

Personen mit Wilson-Krankheit verfügen über eine fehlerhafte Version des Gens *ATP7B*. Dieses Gen ist wichtig, damit Kupfer aus der Leber entfernt wird. VTX-801 ist eine Gentherapie, bei der eine funktionierende Version des Gens *ATP7B* in die leere Hülle eines Virus („Vektor“) eingefügt wird.

i

G — Gene
A
T — Therapy
E for
W — Wilson disease
A (Gentherapie zur
Y Behandlung der
Wilson-Krankheit)



Der Vektor selbst ist nicht ansteckend, da die DNA des Virus, die normalerweise für die Infektion von Zellen sorgen würde, entfernt wurde.

VTX-801 wird als einmalige intravenöse Infusion verabreicht. Dies geschieht in einem Krankenhaus durch ausgebildetes medizinisches Personal. Anschließend soll der Vektor das funktionierende Gen in Ihre Leberzellen transportieren und so dabei helfen, übermäßige Ablagerungen von Kupfer in Ihrem Körper abzubauen und zu vermeiden.

Die Gentherapie hat das Ziel, die Funktion Ihrer Leberzellen dauerhaft zu korrigieren. Es wird Ihnen hierzu einmalig verabreicht.

Weitere Informationen zur vorgesehenen Behandlung der Wilson-Krankheit mit Gentherapie finden Sie auf der Website der Studie GATEWAY unter www.gatewaytrialwilsondisease.com



Wie lange werde ich an der Studie teilnehmen?

Die Studie dauert 5 Jahre ab der VTX-801-Infusion und besteht aus vier Teilen. Wenn Sie sich für eine Teilnahme entscheiden, beginnen diese, nachdem Sie die Einwilligungserklärung unterschreiben.

Prüfung Ihrer Teilnahmeberechtigung (etwa 3 Monate)

Sie werden einigen **Screening-**Untersuchungen unterzogen, um sicherzustellen, dass Sie an der Studie teilnehmen können. Je nachdem, wann Ihre Teilnahme an der Studie beginnt, werden Sie einer von vier Gruppen zugewiesen.



Teil 1



Weitere Beurteilungsbesuche (Jahre 2–5)

Sie werden 5 Jahre lang nach der VTX-801-Infusion weiterhin Studienbesuche wahrnehmen, allerdings weniger häufig als in Jahr 1. Bei diesen Besuchen wird Ihre Gesundheit überwacht. Bei Teilnehmern, die auf VTX-801 ansprechen, wird in diesen Untersuchungen auch bestimmt, ob die Wirkung von VTX-801 während der gesamten Studiendauer aufrechterhalten wird.



Teil 4



Wenn Sie in Deutschland wohnen, werden Sie gebeten, **bis** **Jahr 10** jährlich Telefongespräche mit Ihrem Prüfarzt zu führen.



Vor und während der VTX-801-Infusion (etwa 2 Wochen)



Teil 2

Wenn Sie für die Teilnahme geeignet sind und an der Studie teilnehmen möchten, wird Ihr Prüfarzt oder andere Mitglieder des Studienpersonals einige weitere Untersuchungen durchführen, bevor Sie eine einmalige VTX-801-Infusion erhalten.

Nach der Infusion müssen Sie die Nacht im Krankenhaus verbringen und werden am nächsten Tag entlassen. Dabei handelt es sich um den einzigen verpflichtenden Krankenhausaufenthalt für die Gruppen 1–3. Die Teilnehmer der Gruppe 4 müssen insgesamt 5 Tage im Krankenhaus bleiben



Teil 3

Nachbeobachtungsbesuche (restliches Jahr 1)

Sie werden 1 Jahr lang nach Ihrer VTX- 801-Infusion engmaschig überwacht. Sie werden gebeten, an einigen Studienbesuchen teilzunehmen, bei denen Ihr Prüfarzt oder andere Mitglieder des Studienpersonals Untersuchungen durchführen, um herauszufinden, ob VTX-801 wirkt. Ihr Prüfarzt wird etwa 3 Monate nach der Infusion feststellen können, ob VTX-801 wirkt. Wenn der Prüfarzt der Meinung ist, dass VTX- 801 wirkt, werden Sie Ihre derzeitige Behandlung absetzen.

Die Teilnehmer in Gruppe 4 haben jeweils 2 Krankenhausaufenthalte (jeder für etwa 3 Tage), um die **rechtzeitige** Entnahme von Stuhl- und



Blutproben sicherzustellen.

Was umfasst die Studie?

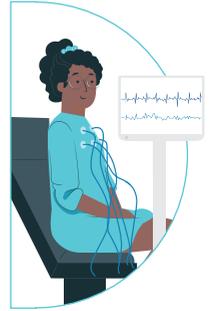
Ihr Studienarzt, das Pflegepersonal oder andere Mitglieder des Studienpersonals müssen während der gesamten Studie verschiedene Untersuchungen durchführen, um sicherzustellen, dass Sie weiterhin teilnehmen können, und **die** Wirkung von VTX-801 zu prüfen.

Manche der Untersuchungen werden als Teil einer regulären Gesundheitsuntersuchung durchgeführt. Dazu zählen Fragen zu Ihrer Krankengeschichte, eine Prüfung Ihrer Vitalparameter (einschließlich Blutdruck und Herzfrequenz), eine körperliche Untersuchung und Messung Ihrer Größe und Ihres Gewichts.

Einige der Untersuchungen werden speziell für die Studie durchgeführt. Diese werden auf den folgenden Seiten beschrieben.

Elektrokardiogramm (EKG)

Ein einfacher Test, mit dem Ihre Herzfunktion geprüft wird. Auf Ihrer Brust, Ihren Armen und Ihren Beinen werden Klebeplättchen angebracht und Sie werden gebeten, still liegen zu bleiben.



Augenuntersuchung

Eine schnelle, schmerzfreie Routineuntersuchung, bei der Ihr Prüfarzt die Gesundheit Ihrer Augen prüft.



Fragebögen

Fragebögen zur Beurteilung Ihrer Symptome.



Leberbiopsie

Während der Leberbiopsie nimmt ein erfahrener Arzt, der auf Lebererkrankungen spezialisiert ist, mit einer dünnen Nadel zwei **sehr** kleine Gewebestücke aus ihrer Leber. Diese werden analysiert, um Ihre Leberfunktion und die Gesundheit Ihrer Leber zu untersuchen und um den Kupfergehalt zu messen.

Während der Studie werden drei Biopsien durchgeführt. Es kann eine zusätzliche Biopsie erforderlich sein, wenn Ihr Prüfarzt einen Verdacht auf eine **anomale** Veränderung in Ihrer Leber hat.

Magnetresonanztomographie (MRT)/ Magnetresonanz-Elastographie (MRE)



Eine harmlose, häufig durchgeführte Untersuchung, in der Magnete und Funkwellen verwendet werden, um Bilder Ihres Gehirns und Bauchraums zu erstellen. Dadurch kann Ihr Prüfarzt die Gesundheit und Steifheit Ihrer Leber (wie viele Narben sind zu sehen) beurteilen. Auf Ihren Bauch wird ein Polster gelegt und Sie werden gebeten, im Gerät still zu liegen. Das Gerät ist ein großes Rohr mit Löchern an beiden Seiten.



Probenentnahme



Blutproben

Es werden Blutproben für routinemäßige Sicherheitskontrollen und zur Überwachung sowie für regelmäßige Schwangerschaftstests (falls Sie weiblich sind) entnommen. Diese werden wie alle anderen Blutuntersuchungen durchgeführt, die bei Ihnen bisher durchgeführt wurden.



Urinproben



- Es werden Urinproben für zur routinemäßigen Überwachung der Gesundheit und der Kupferwerte sowie für regelmäßige Schwangerschaftstests (falls Sie weiblich sind) entnommen.
- In Teil 1 der Studie werden Harnstreifentests für den Nachweis bestimmter Substanzen durchgeführt.

Proben zur Beurteilung der Entfernung des Vektors aus dem Körper

Während der gesamten Studie werden Urin-, Speichel-, Stuhl- und Blutproben entnommen, um die Entfernung des Vektors aus Ihrem Körper nach der Lieferung des funktionierenden Gens zu überwachen.



Zusätzliche Stuhlproben für Gruppe 4

Um zu prüfen, wie viel Kupfer aus dem Körper entfernt wurde, werden während der Krankenhausaufenthalte weitere Stuhlproben entnommen.



Wenn Sie zu irgendeinem Zeitpunkt Fragen zu diesen Untersuchungen haben, fragen Sie bitte Ihren Prüfarzt oder ein anderes Mitglied des Studienpersonals.





In den folgenden Abschnitten werden die Teile 1–4 beschrieben, darunter die Zeitpunkte der Untersuchungen.



Teil 1: Prüfung Ihrer Teil- nameberechtigung (etwa 3 Monate)



Die Screening-Phase  dauert etwa 3 Monate, kann aber in manchen Fällen länger dauern. Die Screening-Phase ist lang, da wir sicherstellen müssen, dass Ihre Erkrankung stabil ist und Sie teilnehmen können. Sie werden mindestens zwei Studienbesuche wahrnehmen, B1A und B1B, bei denen Ihr Studienarzt die folgenden Untersuchungen durchführt:



All diese Untersuchungen beginnen erst, wenn Sie die Einwilligungserklärung unterschrieben haben.

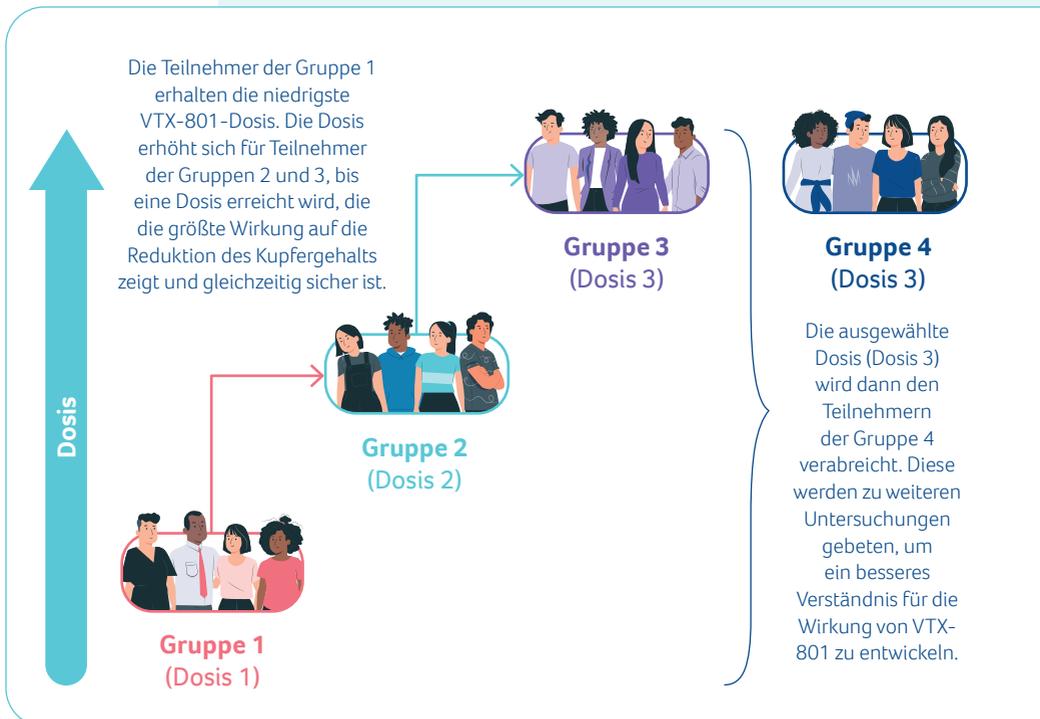
Screening-Phase

	V1A	V1B
Krankengeschichte	●	●
Vitalparameter	●	●
Körperliche Untersuchung (einschließlich Größe und Gewicht)	●	●
Erfassung des Alkoholkonsums	●	●
Probenentnahme von Blut und Urin	●	●
Fragebögen	●	●
EKG		●
MRT des Bauchraums und Gehirns/ MRE der Leber 		●
Leberbiopsie (am Ende von B1B durchzuführen)		●

Was sind die vier Studiengruppen und welcher werde ich zugewiesen?

Wenn Sie für die Teilnahme an der Studie geeignet sind, werden Sie einer von vier Gruppen zugewiesen. In jeder Gruppe befinden sich bis zu vier Teilnehmer und jeder Teilnehmer erhält eine Dosis VTX-801.

Die Gruppen werden nacheinander in die Studie aufgenommen. Deshalb hängt die Gruppe, der Sie zugewiesen werden, sowie die Dosis, die Sie erhalten, vom Zeitpunkt Ihrer Aufnahme in die Studie ab. Dies wird kurz im unteren Diagramm erklärt.



Vor dem Ende von Teil 1 wird Ihnen Ihr Studienarzt sagen, welcher Gruppe Sie zugewiesen wurden. Danach gehen Sie zu Teil 2 über.

Teil 2: Vor und während der VTX-801-Infusion (etwa 2 Wochen)



Was geschieht 1 Woche vor der VTX-801-Infusion?

In der Woche vor der VTX-801-Infusion nehmen Sie an vier Studienbesuchen teil. Bei jedem Besuch führt Ihr Prüfarzt einige Untersuchungen durch, um Ihre Gesundheit zu prüfen und sicherzustellen, dass Sie VTX-801 und einige zusätzliche Arzneimittel einnehmen können.

Besuch-Nr.

Vitalparameter 

Probenentnahme von Blut und/oder Urin, Speichel und Stuhl

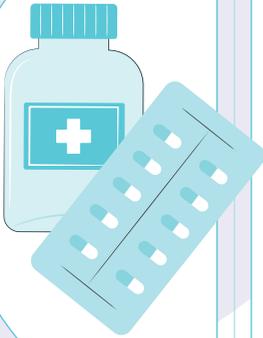
Körperliche Untersuchung (einschließlich Gewicht)

Augenuntersuchung

Fragebögen

Erfassung des Alkoholkonsums

	B2	B3	B4	B5
Vitalparameter	●	●	●	●
Probenentnahme von Blut und/oder Urin, Speichel und Stuhl	●	●	●	●
Körperliche Untersuchung (einschließlich Gewicht)	●	●		●
Augenuntersuchung	●			
Fragebögen	●			
Erfassung des Alkoholkonsums	●			



Bei BZ  beginnen Sie die Einnahme des Arzneimittels Sirolimus sowie eine Behandlung zur Vorbeugung von Infektionen. Diese Behandlungen setzen Sie bis 3 Monate nach der VTX-801-Infusion fort.

Sirolimus in Kombination mit dem eingenommenen Kortikosteroid werden vorübergehend Ihr Immunsystem schwächen. Dadurch verringert sich die Wahrscheinlichkeit, dass Ihr Körper VTX-801 abstößt, und erhöht die Wahrscheinlichkeit, dass VTX-801 wirkt. Sie können sich während dieser Zeit allerdings leichter infizieren, deshalb erhalten Sie zum Schutz Antibiotika und Arzneimittel gegen Pilzinfektionen.



Bei B  erhalten Sie eine Injektion mit einer geringen Menge Radiokupfer.

Radiokupfer (oder radioaktives Kupfer) erlaubt Ihrem Prüfarzt, die Bewegungen von Kupfer in Ihrem Körper zu verfolgen, um zu überprüfen, wie gut VTX-801 wirkt. Wenn Sie derzeit eine Chelator-Behandlung erhalten, werden Sie gebeten, diese Behandlung einige Tage vor und nach der Injektion abzusetzen. **Diese Behandlung könnte die  Radiokupfer-Untersuchungen beeinträchtigen.** Diese kurze Einnahmepause ist sicher und Sie können die  Behandlung nach den Untersuchungen erneut aufnehmen.

Wenn Sie in Gruppe 4 sind,  müssen Sie nach einem Radiokupfertest 3 Tage im Krankenhaus bleiben. Dies geschieht, damit weitere Informationen zur Wirkung von VTX-801 gesammelt werden. Für Gruppe 4 sind weitere Stuhlproben erforderlich. Am Tag vor der Verabreichung von Radiokupfer erhalten Sie von Ihrem Prüfarzt ein leichtes Abführmittel, das Sie in der Phase der Stuhlprobenahme täglich einnehmen müssen.

Was ist am Tag der VTX-801-Infusion zu erwarten?



Sie werden gebeten, über Nacht vor der VTX-801-Infusion sowie 2 Stunden nach der Infusion nicht zu essen.



Ihr Prüfarzt erfasst zunächst Ihre Vitalparameter, führt ein EKG durch und sammelt Blut- und Urinproben (plus eine Stuhlprobe von Teilnehmern der Gruppe 4).

Sie erhalten dann eine Kortikosteroid-Injektion 1 Stunde vor der VTX-801-Infusion. Diese soll unerwünschte Reaktionen bei der VTX-801-Infusion verhindern. Sie werden für 2 weitere Monate Kortikosteroide oral einnehmen.

VTX-801 wird über die Dauer einiger Stunden als intravenöse Infusion verabreicht. Die benötigte Zeit hängt von Ihrem Gewicht und von der Gruppe ab, in der Sie sich befinden. Alle Gruppen müssen über Nacht im Krankenhaus bleiben und werden am nächsten Tag entlassen.

Nur für Gruppe 4: Zum Zeitpunkt der VTX-801-Infusion müssen Sie insgesamt 5 Tage (4 Nächte) im Krankenhaus bleiben. Sie können diesen Aufenthalt möglicherweise in zwei Krankenhausbesuche von 3 Tagen (3 Nächte) und 2 Tagen (1 Nacht) mit einer Pause von höchstens 3 Tagen unterteilen. Dies ist vom Prüfzentrum abhängig.



Teil 3: Nachbeobach- tungsbesuche (restliches Jahr 1)

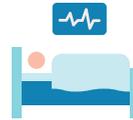
Nach der VTX-801-Infusion nehmen Sie weiterhin Studienbesuche wahr. Auf der nächsten Seite finden Sie die Anzahl der Studienbesuche, die Sie im ersten Nachbeobachtungsjahr erwarten.

Sie werden folgende Symbole finden:



Ambulanter Besuch

Wenn Sie ins Krankenhaus kommen und es am gleichen Tag verlassen



Stationärer Besuch

Wenn Sie ins Krankenhaus kommen und im Krankenhaus übernachten müssen



Besuch des Pflegepersonals

Falls Sie und Ihr Arzt sich darauf einigen, kann Sie das Pflegepersonal zuhause besuchen, um die Untersuchungen durchzuführen und Proben zu entnehmen



Telefon-/Videoanrufe

Statt eines Besuchs am Prüfzentrum ruft Sie Ihr Arzt an, um zu erfahren, wie es Ihnen geht

Was erwartet mich im ersten Jahr?

VTX-801-Infusion
(Krankenhausaufenthalt von 1 Nacht für alle Gruppen)

Radiokupfer-Injektion
(Krankenhausaufenthalt von 3 Nächten nur für Gruppe 4*)

	Tag 1		Monat 1 (Woche 4)							Monat 2 (Woche 8)		Monat 3 (Woche 12)		
Besuch-Nr.	6	7	8	9	10	11-17	18	19-25	26	27	28			
Besuchsart										oder				
Probenentnahme von Blut und/oder Urin, Speichel und Stuhl	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●	●			
Körperliche Untersuchung		●	●		●		●		●					
Erfassung des Alkoholkonsums			●		●		●		●					
Fragebögen									●					
EKG	●								●					
Augenuntersuchung														
MRT des Bauchraums und MRE der Leber														
Leberbiopsie														

Nehmen Sie das Kortikosteroid bis zum Ende der Woche 8 (B19) ein

Nehmen Sie Sirolimus und die Behandlung gegen Infektionen bis zum Ende der Woche 12 (V29) ein

* Nur für Gruppe 4: Sie werden an B29 und B42 aus dem Krankenhaus entlassen, sobald der Prüfarzt Ihre Untersuchungen durchgeführt hat



Radiokupfer-Injektion

(Krankenhausaufenthalt von 3 Nächten nur für Gruppe 4*)

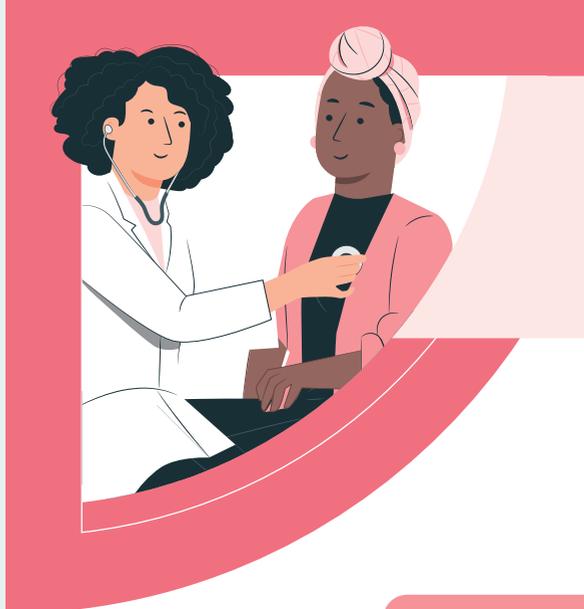


	Monat 6 (Woche 24)						Monat 9 (Woche 36)				Monat 12 (Woche 52)			
	2 Besuche		3 Besuche			2 Besuche						2 Besuche		
	29	30, 31	32	33-35	36	37, 38	39	40	41	42	43	44, 45	46	
Icons							oder							
Green dots	●	●		●	●	●	●	●	●	●		●	●	
Yellow dots					●		●					●		
Light green dots				●			●					●		
Blue dots							●					●		
Dark blue dots					●							●		
Dark red dots												●		
Dark blue dots												●		
Pink dots												●		
Purple dots												●		



Wie und wann wird mein Prüfarzt wissen, ob VTX-801 wirkt?

Die zwei zusätzlichen, geringen Dosen Radiokupfer, die Sie in Jahr 1 erhalten, helfen Ihrem Prüfarzt, die Bewegungen von Kupfer in Ihrem Körper zu verfolgen. Ihr Prüfarzt kann möglicherweise schon 3 Monate nach der Infusion feststellen, ob VTX-801 wirkt. Wenn er der Meinung ist, dass VTX-801 wirksam ist, werden Sie Ihre derzeitige Behandlung (D-Penicillamin, Trientin oder Zink) absetzen. Sie werden 5 Jahre lang nach der Infusion engmaschig überwacht, um Ihre Gesundheit die Aufrechterhaltung der Wirkung von VTX-801 zu prüfen. Wenn Ihr Prüfarzt dies für nötig hält, kann er Ihre derzeitige Behandlung zu jedem Zeitpunkt erneut anordnen.



Besuch-Nr.

Jahr 2

47

48

Besuchsart



Vitalparameter und körperliche Untersuchung



Probenentnahme von Blut und/oder Urin



Erfassung des Alkoholkonsums



Fragebögen



EKG

Augenuntersuchung

MRT des Bauchraums und **MRE der Leber**

MRT des Gehirns

Leberbiopsie

Teil 4: Weitere Beurteilungsbesuche (Jahre 2–5)

Über die 5 Jahre der Nachbeobachtung werden Sie in Jahr 2 alle 3 Monate und in den Jahren 3–5 zweimal im Jahr Studienbesuche wahrnehmen. Nachfolgend finden Sie die Untersuchungen, die in jedem Jahr durchgeführt werden:

		Jahr 3		Jahr 4		Jahr 5	
49	50	51	52	53	54	55	56



Wenn Sie in Deutschland leben, werden Sie gebeten, bis Jahr 10 jährlich Telefon-/ Videoanrufe mit Ihrem Prüfarzt zu führen.

Häufig gestellte Fragen



Kann ich während der Studie Alkohol trinken?

Alkoholkonsum wird für Patienten mit Wilson-Krankheit nicht empfohlen. Nach der VTX-801-Infusion sollten Sie 9 Monate lang keinen Alkohol trinken. Nach diesem Zeitraum sollten Sie den Alkoholkonsum auf ein Minimum halten. Wenn Sie Alkohol trinken möchten, sollten Sie nicht mehr als drei alkoholische Getränke pro Woche zu sich nehmen. Ihr Prüfarzt überwacht Ihren Alkoholkonsum, da exzessiver Alkoholkonsum Ihre Leber schädigen und den potenziellen Nutzen von VTX-801 beeinträchtigen kann.



Muss ich meine Ernährung ändern?

Wenn Sie sich kupferarm ernähren, müssen Sie dies während der Studie weiterhin tun. Ihr Prüfarzt kann dies bei Bedarf ändern.

Während der 3-monatigen Einnahme von Sirolimus sollten Sie keinen Grapefruit-Saft trinken, da er **Interaktionen** führen kann, dass das **Arzneimittel** nicht abgebaut wird und unerwünschte Nebenwirkungen auftreten.



Gibt es Begrenzungen hinsichtlich körperlicher Aktivität?

Vermeiden Sie in Teil 1 der Studie und bis zu 9 Monate nach der VTX-801-Infusion anstrengende Übungen, wie z. B. Gewichtheben. Diese Art von Übung kann Ihre Blutwerte beeinflussen.



Kann ich während der Studie geimpft werden?

Sie werden gebeten, alle ausstehenden Impfungen vor der Aufnahme in die Studie abzuschließen. Sie dürfen allerdings ab 30 Tagen vor der Verabreichung von Sirolimus bis einschließlich Woche 1 **keine** Lebendimpfstoff erhalten (ein Impfstoff aus abgeschwächtem Virus). Totimpfstoffe (wie z. B. COVID-19-Impfstoffe und Grippeimpfstoffe) sollten ab 2 Wochen vor der Verabreichung von Sirolimus bis einschließlich Woche **vermieden** werden.



Was sind die Risiken und möglichen Vorteile im Zusammenhang mit meiner Teilnahme an der Studie GATEWAY?

Die Risiken und der potenzielle Nutzen der Studie GATEWAY werden in der Einwilligungserklärung detailliert beschrieben und Sie können diese jederzeit mit Ihrem Prüfarzt besprechen.



Wer gewährleistet meine Sicherheit während der Studie?

Der Prüfarzt ist für die Überwachung Ihrer Sicherheit während der Studie zuständig. Ein Komitee aus auf die Wilson-Krankheit spezialisierten Ärzten wird ebenfalls Ihre Untersuchungsergebnisse verfolgen und im Falle von Sicherheitsbedenken Maßnahmen vorschlagen.

Während der gesamten Studie sollten Sie Ihrem Prüfarzt alle zusätzlichen Medikamente melden, die Sie einnehmen, sowie alle unerwünschten Nebenwirkungen, auch wenn Sie nicht sicher sind, ob diese mit der Behandlung zusammenhängen.



Was geschieht, wenn ich meine Teilnahme an der Studie beenden möchte?

Die Nachbeobachtungsbesuche sind für die Überwachung Ihrer Gesundheit wichtig. Ihre Entscheidung, an der Studie GATEWAY teilzunehmen, ist freiwillig und Sie können Ihre Teilnahme an der Studie jederzeit beenden. Wenn Sie nach der VTX-801-Infusion Ihre Teilnahme an der Studie vorzeitig beenden möchten, wird Ihr Prüfarzt mit Ihnen besprechen, wie dies optimal geschehen kann. Ihre Gesundheit muss unbedingt weiterhin von einem anderen Arzt überwacht werden.



Wohin muss ich für meine Studienbesuche reisen?

Nur eine bestimmte Auswahl an Prüfcentren kann die Radiokupfer-Injektionen und die VTX-801-Infusion verabreichen. Diese Zentren nennen wir Infusionszentren.

Die meisten Verfahren und Untersuchungen können in einem Zentrum, das kein Infusionszentrum ist (sogenanntes Nicht-Infusionszentrum), durchgeführt werden. Um die Reisen aller Teilnehmer zu reduzieren, wurden einige Nicht-Infusionszentren eröffnet. Deshalb müssen Sie für eine begrenzte Anzahl von Besuchen nur zum nächsten Nicht-Infusionszentrum reisen.

Wenn Sie weit weg vom nächsten Infusions- oder Nicht-Infusionszentrum wohnen, müssen Sie für manche ambulante Besuche möglicherweise im Krankenhaus oder in einem Hotel übernachten.



Wird die Teilnahme an der Studie etwas kosten?

Alle Reisekosten und studienbezogene Tests werden von Vivet Therapeutics übernommen.

Es wurde ein Patientenservice eingerichtet, der Reise und Unterkunft für Sie organisiert, damit Sie diese Kosten nicht tragen müssen. Wenn Sie selbst für bestimmte Dinge im Zusammenhang mit der Studie bezahlen, wie z. B. Taxi oder Parkgebühren, werden Ihnen diese erstattet.

Wer ist Vivet Therapeutics?

Vivet Therapeutics ist ein Biotechnologieunternehmen, das neue Gentherapien für seltene Erberkrankungen der Leber, einschließlich der Wilson-Krankheit, entwickelt. Mehr über Vivet Therapeutics erfahren Sie hier:

www.vivet-therapeutics.com

Wer stellt VTX-801 her?

VTX-801 wird von Pfizer, USA, im Auftrag von Vivet Therapeutics hergestellt.



Was geschieht, wenn ich mehr Fragen zur Studie GATEWAY habe?

Alle nötigen Details sind in der Einwilligungserklärung enthalten. Wenn Sie weitere Fragen haben, sprechen Sie bitte mit Ihrem Prüfarzt oder anderen Mitgliedern des Studienpersonals.

Weitere häufig gestellte Fragen finden Sie auf der Website der Studie GATEWAY: www.gatewaytrialwilsondisease.com



Hinweise

Wir bedanken uns für Ihr Interesse an dieser Forschungsstudie.