

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.

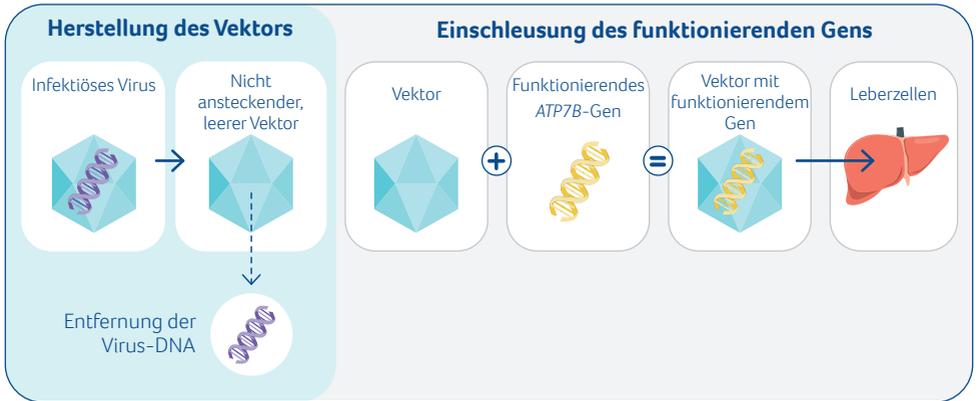


Was ist VTX-801 und wie wirkt es?

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

