

# ESSENCE

(4045-301)

Pour de plus amples renseignements sur l'étude, y compris des critères d'inclusion/exclusion supplémentaires et une liste actuelle des centres d'étude mondiaux participants, visitez **clinicaltrials.gov** et recherchez « **NCT02500381** » ou **eudract.ema.europa.eu**. Vous pouvez également envoyer un courriel à l'adresse [clinicaltrials@sarepta.com](mailto:clinicaltrials@sarepta.com) ou composer le +1 800 690-2003 (anglais seulement) pour en savoir plus.



Cette brochure est destinée à un auditoire canadien seulement.

©2020 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First St., Cambridge, MA 02142. Tous droits réservés.

11/20 MED-CAN-SRP-45-0001-FR

Sarepta, Sarepta Therapeutics et Sarepta Helix Logo sont des marques de commerce de Sarepta Therapeutics déposées au Patent and Trademark Office des É.-U. et peuvent être déposées dans plusieurs autres juridictions.

Sarepta détient toutes les autorisations nécessaires pour les images utilisées dans ce contenu.

Version 2.0



# ESSENCE

(4045-301)

Pour les patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) qui présentent des mutations délétables sensibles au saut de l'exon 45 ou de l'exon 53.



## OBJECTIF DE L'ÉTUDE

L'objectif de cette étude de recherche de phase III est d'évaluer la sûreté et l'efficacité de SRP-4045 et SRP-4053, les médicaments expérimentaux de Sarepta visant le saut de l'exon 45 et de l'exon 53.

Cette étude à répartition aléatoire et contrôlée par placebo comprend trois groupes :

- Les patients atteints de DMD qui ont des délétions sensibles au saut de l'exon 45 recevront SRP-4045.
- Les patients atteints de DMD qui ont des délétions sensibles au saut de l'exon 53 recevront SRP-4053.
- Les patients atteints de DMD qui ont des délétions sensibles au saut de l'exon 45 ou 53 recevront un placebo.



## Qui pourrait être admissible à participer à cette étude?

Les principaux critères d'inclusion comprennent :

- Garçon atteint de DMD, âgé de 7 à 13 ans qui peut marcher.
- A fait un test génétique qui montre qu'il a une délétion qui peut être traitée en sautant l'exon 45 ou 53.\* Renseignez-vous auprès de votre médecin si vous n'êtes pas certain.
- Reçoit une dose stable de corticostéroïdes (p. ex., prednisone ou déflazacort) depuis au moins 6 mois.
- A une fonction pulmonaire (respiration) et une fonction cardiaque stables.

Il y a d'autres exigences pour la participation et celles-ci seront examinées avec les patients et leurs familles pendant le processus de sélection.



## Où mène cette étude?

Cette étude est menée dans environ 80 centres. Nous ne recrutons plus aux États-Unis. Pour une liste des centres qui recrutent actuellement des patients, visitez le [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) et recherchez NCT02500381.

Vous pouvez également envoyer un courriel à [clinicaltrials@sarepta.com](mailto:clinicaltrials@sarepta.com) pour en savoir plus.



## Qui détermine l'admissibilité à participer?

Le chercheur principal (médecin) d'un centre d'étude détermine si un patient satisfait ou non à tous les critères d'inclusion et à aucun des critères d'exclusion de l'étude, et est donc admissible à participer à l'étude.

Des évaluations et des tests seront réalisés pendant la visite de sélection et le médecin de l'étude examinera et évaluera l'admissibilité. En fin de compte, la décision de participer à cette étude doit être prise par votre famille et le médecin de votre enfant.



## Quels sont les risques associés à cette étude?

Comme pour toutes les études cliniques, il peut y avoir des risques associés aux effets secondaires possibles de la prise du médicament à l'étude et aux tests médicaux usuels effectués dans le cadre de l'étude à chaque visite. Des renseignements sur les effets secondaires possibles que vous pourriez éprouver dans le cadre de cette étude sont disponibles dans le formulaire de consentement et vous devez en discuter avec le médecin de l'étude.

\* Les délétions sensibles au saut de l'exon 45 comprennent, sans s'y limiter, les délétions des exons 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53 ou 46-55.

Les délétions sensibles au saut de l'exon 53 comprennent, sans s'y limiter, les délétions des exons 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52, ou 54-58.



## Pourquoi devrais-je envisager de participer à cette étude?

Bien qu'on ne puisse garantir aucun avantage découlant de la participation à toute étude clinique, nous croyons que certains avantages peuvent comprendre :

- L'accès à un traitement expérimental.
- L'accès à des cliniciens hautement expérimentés possédant une solide expertise dans le traitement de la DMD.
- Une meilleure compréhension de la maladie de votre fils.
- L'occasion de se familiariser avec ce qu'implique la participation à une étude clinique.
- L'occasion de contribuer aux connaissances sur la progression de la DMD.
- L'occasion d'aider les autres en contribuant à une recherche médicale qui pourrait accélérer le développement des traitements pour la DMD.



## Qu'est-ce qu'une étude à répartition aléatoire contrôlée par placebo et pourquoi Sarepta en mène-t-elle une?

À répartition aléatoire, contrôlée par placebo signifie que chaque participant à l'étude sera choisi aléatoirement, au hasard (comme lors d'un tirage à pile ou face), pour recevoir soit le médicament à l'étude actif (SRP-4045 ou SRP-4053, selon son type de délétion) ou le « placebo ». Le placebo est conçu pour ressembler exactement au médicament à l'étude, mais il ne contiendra aucun médicament actif. Si votre fils participe à cette étude, il aura 2 chances sur 3 de recevoir le médicament à l'étude et 1 chance sur 3 de recevoir le placebo.

Les chercheurs utilisent un placebo pour déterminer si le médicament à l'étude fonctionne et pour savoir à quel point il est sécuritaire par rapport à ne rien prendre. Un essai contrôlé par placebo est le type de conception le plus couramment utilisé pour les essais cliniques de phase III qui sont utilisés pour obtenir l'approbation de médicaments de la part d'organismes comme la FDA et l'Agence européenne des médicaments.

Les patients qui terminent la partie contrôlée par placebo de deux ans de l'étude seront admissibles à participer à la période de prolongation sans insu d'un an. « Sans insu » signifie que tous les patients recevront le médicament à l'étude actif et que vous et l'équipe de l'étude saurez que votre fils le reçoit. Après cette étude, ils seront admissibles à participer à une étude de prolongation à long terme.



## En quoi consiste la participation à cette étude?

Les patients inscrits visiteront les centres d'étude pour l'administration de la dose, les évaluations fonctionnelles, les tests médicaux et deux biopsies au cours de la phase initiale contrôlée par placebo de deux ans de l'étude. Cela sera suivi de la période sans insu d'un an, au cours de laquelle tous les patients pourront recevoir le médicament à l'étude actif. Les visites d'administration de la dose auront lieu chaque semaine et les évaluations fonctionnelles seront effectuées tous les trois mois pendant la période contrôlée par placebo et moins fréquemment pendant la période sans insu. Le médecin de l'étude et son personnel passeront en revue les exigences de l'étude pendant le processus de consentement éclairé.



## Serai-je rémunéré pour participer?

En général, les coûts raisonnables associés à la participation à l'étude seront prépayés ou remboursés par Sarepta conformément à la politique de déplacement approuvée pour les procédures de l'étude réalisées dans le cadre de l'étude. Les renseignements seront fournis par le centre d'étude.

