



Manual del participante

Este manual contiene información importante sobre el estudio Oasis. Conserve este manual en un lugar seguro y llévelo con usted a sus visitas del estudio.

Información de contacto del estudio

Médico del estudio:

Enfermero/Coordinador del estudio:

Otros números de teléfono de contacto:

Números de teléfono en caso de emergencia:

Nombre de la clínica del estudio:

Dirección de la clínica del estudio:

¡Le damos la bienvenida a Oasis!

Gracias por participar en el estudio Oasis. Al participar voluntariamente, está ayudando a los investigadores a saber más sobre el angioedema hereditario (AEH).

Queremos que sepa qué esperar durante el estudio. También queremos que se sienta cómodo con los requisitos del estudio. En este manual se incluye información importante acerca de los siguientes temas:

- Calendario de visitas del estudio
- Descripción general del angioedema hereditario (AEH)
- Medicamento del estudio
- Cómo funcionará el estudio Oasis
- Evaluaciones de salud
- Recordatorios importantes del estudio
- Participación en el estudio clínico

También se incluyen páginas en blanco en la sección de notas por si desea tomar notas durante las visitas del estudio.

¡Agradecemos su participación en este estudio! Si tiene alguna pregunta, no dude en consultar con el médico o el personal del estudio.

Atentamente,

El equipo del estudio Oasis

Calendario de visitas del estudio

Use la tabla para realizar el seguimiento de la fecha y la hora de cada una de las visitas del estudio.

Visita del estudio	Semana	Fecha	Hora	¿Finalizada?
1	1			<input type="checkbox"/>
2*	5			<input type="checkbox"/>
3*	9			<input type="checkbox"/>
4*	13			<input type="checkbox"/>
5*	17			<input type="checkbox"/>
6*	21			<input type="checkbox"/>
7	25			<input type="checkbox"/>
8*	29			<input type="checkbox"/>
9*	33			<input type="checkbox"/>
10*	38			<input type="checkbox"/>

*Visita domiciliaria (si procede)

Lista de verificación de la visita del estudio

Cada visita del estudio durará algunas horas, por lo que debe prepararse como corresponde. Lleve estos artículos a cada visita del estudio:

- Este manual
- El diario electrónico del estudio
- Cualquier medicamento del estudio y envase usado o sin usar (si se administra la dosis en el domicilio)
- Cualquier otro artículo que pueda necesitar (p. ej., cargador de teléfono, refrigerio)

Descripción general del angioedema hereditario (AEH)

El AEH es una enfermedad genética rara que causa ataques de inflamación dolorosa. Estos ataques pueden aparecer sin previo aviso y durar hasta varios días. Los ataques de AEH se producen con mayor frecuencia en las siguientes áreas:

- Manos
- Cara
- Vientre/abdomen
- Pies
- Garganta

Incluso con los tratamientos disponibles, a algunas personas todavía les resulta difícil controlar los ataques de AEH. Lo que aprendamos del estudio Oasis puede ayudar a desarrollar mejores opciones de tratamiento para las personas con AEH en el futuro.

Medicamento del estudio

El medicamento del estudio se llama donidalorsen. Se trata de un tratamiento antisentido, que es un tipo de medicamento diseñado para alterar el proceso patológico y cambiar su evolución. Donidalorsen se ha diseñado de manera exclusiva para reducir la cantidad de una proteína llamada precalicreína (PKK), que es producida por el hígado. Cuando el hígado libera la PKK y se libera al torrente sanguíneo, puede provocar ataques de AEH. Reducir la cantidad de PKK puede ayudar a reducir o prevenir los ataques de AEH.

Se le asignará aleatoriamente para recibir el medicamento del estudio o placebo. El placebo se parece al medicamento del estudio, pero no tiene ningún principio activo. Tanto el medicamento del estudio como el placebo se administran en forma de inyección. Recibirá hasta 6 inyecciones durante el estudio bajo la piel del brazo, el abdomen o el muslo.

Cómo funcionará el estudio Oasis

El estudio de Oasis dura hasta 46 semanas (un poco menos de 1 año). El estudio se divide en los siguientes períodos de tiempo:

Período de selección (hasta 8 semanas)

- Usted ya ha completado el período de selección.

Período de tratamiento del estudio (25 semanas o aproximadamente 6 meses)

- Acudirá a visitas del estudio una vez cada 4 semanas. Algunas visitas pueden ser desde casa. Durante las visitas del estudio, recibirá una inyección del medicamento del estudio o de placebo cada 4 u 8 semanas. También responderá preguntas sobre su AEH y completará evaluaciones de salud, como un examen físico, un análisis de sangre y una prueba cardíaca.
- Además de las visitas de estudio, completará un diario electrónico todos los días. El diario incluirá preguntas sobre sus síntomas de AEH y cualquier ataque reciente de AEH.
- Si sufre un ataque de AEH durante el estudio, póngase en contacto con el equipo del estudio en las 72 horas siguientes al ataque. El equipo del estudio le llamará cada semana entre las visitas del estudio para preguntarle sobre cualquier ataque reciente de AEH.
- Después de este período, puede continuar con el período de seguimiento, o puede tener la opción de participar en un estudio de extensión abierto. Todos los participantes en el estudio abierto recibirán el medicamento del estudio (no hay placebo). El equipo del estudio puede proporcionar más información sobre esta opción.



Período de seguimiento (13 semanas o un poco más de 3 meses)

- Después de su última visita del período de tratamiento del estudio, acudirá a 3 visitas de seguimiento para evaluaciones de salud. Durante estas visitas, responderá preguntas y completará evaluaciones similares a otras realizadas a lo largo del estudio.

Evaluaciones de salud

Se le realizarán diferentes evaluaciones de salud durante el estudio, las que ayudarán al médico del estudio a monitorear su salud y los efectos del medicamento del estudio. A continuación puede encontrar más información sobre estas evaluaciones.

Evaluación del Estudio	Qué Esperar
 Examen físico	El médico del estudio realizará pruebas para comprobar su estado general de salud. El médico del estudio puede revisarle la cabeza, el cuello, el vientre, los brazos y las piernas para comprobar si están sanos. El médico del estudio también le escuchará el corazón y los pulmones.
 Análisis de sangre	Un miembro del equipo del estudio tomará una pequeña muestra de sangre que se enviará a un laboratorio para su análisis.
 Análisis de orina	Usted deberá proporcionar una muestra de orina que se enviará a un laboratorio para su análisis.
 Prueba cardíaca (ECG)	Un miembro el equipo del estudio colocará unos pequeños parches adhesivos en el pecho, los brazos y las piernas para medir la actividad eléctrica de su corazón.

Evaluación del Estudio	Qué Esperar
 Cuestionarios	Responderá preguntas sobre su AEH, síntomas y cómo afecta el AEH a su vida diaria. Completará algunos cuestionarios cada día y otros cuestionarios cada semana durante el estudio.
 Evaluación de ataques de AEH	Un miembro del equipo del estudio le preguntará sobre los ataques recientes de AEH. El personal del estudio lo llamará semanalmente entre las visitas del estudio para completar esta evaluación.
 Conversación sobre su salud	Un miembro del personal del estudio le preguntará cómo se siente y qué medicamentos está tomando actualmente.
 Inyección del medicamento del estudio o del placebo	Recibirá una inyección con el medicamento del estudio o el placebo.

Calendario de evaluaciones

Esta tabla muestra cuándo puede esperar que le hagan cada evaluación de salud durante el estudio Oasis.

	Período de tratamiento del estudio							Período de seguimiento		
Semana del estudio	1	5	9	13	17	21	25	29	33	38
Visita del estudio	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Evaluación de salud										
Examen físico										
Análisis de sangre										
Análisis de orina										
Prueba cardíaca (ECG)					 *	 *				
Cuestionarios***										
Evaluación de ataques de AEH										
Conversación sobre su salud										
Inyección del medicamento del estudio o del placebo		 **		 **		 **				

*Si está siguiendo una pauta de administración de 4 semanas, no se le realizará una prueba cardíaca en la visita 5 del estudio. Si está siguiendo una pauta de administración de 8 semanas, no se le realizará la prueba cardíaca en la visita 6 del estudio.

**Si está siguiendo una pauta de administración de 8 semanas, no recibirá el medicamento del estudio (o placebo) en estas visitas. El equipo del estudio le dirá qué debe esperar.

***Algunos cuestionarios se completarán todos los días.

Recordatorios importantes del estudio

- Asista a todas las visitas del estudio. Comunique al equipo del estudio qué días es posible que tenga que viajar, se tome vacaciones o esté ocupado y no esté disponible para visitar al médico del estudio.
- Siga todas las instrucciones del equipo del estudio.
- Hable con el médico del estudio antes de tomar cualquier medicamento nuevo durante el estudio, lo que incluye vitaminas, medicamentos a base de hierbas y medicamentos recetados.
- Informe cualquier síntoma o problema médico que tenga durante el estudio.
- Hágale preguntas al equipo del estudio o comuníquese si necesita más indicaciones. Tome notas que le ayuden a recordar qué sucedió entre las visitas y qué preguntas tiene para el médico o para el equipo del estudio.
- Recuerde que su participación es completamente voluntaria. Puede retirarse del estudio en cualquier momento y por cualquier motivo. Sin embargo, si decide abandonar el estudio, le pedimos que hable con un miembro del equipo del estudio y que acuda a 1 visita más para que le hagan las pruebas y evaluaciones finales.
- Comunique al personal del estudio cualquier cambio en su información de contacto.



Participación en el estudio clínico

Los estudios de investigación clínica ayudan a los científicos y a los médicos a evaluar si un medicamento o dispositivo es seguro y eficaz para las personas. Los datos recopilados a partir de la investigación clínica pueden mejorar su salud y la manera en que recibe atención médica al generar información sobre nuevas opciones de tratamiento para el AEH. Lo que aprendamos del estudio Oasis podría ayudar a las personas con AEH en el futuro.

Las reglas y la ética que los médicos deben seguir en la práctica de la medicina se aplican también a los estudios de investigación clínica. También se aplican otras reglas, llamadas Buenas Prácticas Clínicas, y se han establecido para proteger a los participantes del estudio.

