

## Klinische Studie für Kinder und Jugendliche mit Störungen der Oxidation langkettiger Fettsäuren (LC-FAOD)



### Wir untersuchen ein Medikament zur Behandlung von LC-FAOD.

#### Warum führen wir diese Studie durch?

Wir vergleichen die Wirkungen zweier unterschiedlicher Behandlungen auf die Häufigkeit schwerwiegender klinischer Ereignisse bei Kindern und Jugendlichen mit LC-FAOD. Schwerwiegende klinische Ereignisse sind definiert als Ereignisse oder Symptome im Zusammenhang mit LC-FAOD, die einen Besuch in einer Notfallklinik oder Notaufnahme oder einen Krankenhausaufenthalt erfordern oder zum Tod führen. Die zu vergleichenden Behandlungen sind:

- Das Prüfmedikament Triheptanoin (UX007)
- MCT-Öl, der aktuelle Versorgungsstandard bei LC-FAOD

Triheptanoin (UX007) ist von den Gesundheitsbehörden nicht zugelassen; es befindet sich noch in der Erprobung, um eine Zulassung zu erhalten.

In den USA (30. Juni 2020), in Kanada (15. Februar 2021), Mexiko (24. August 2022) und Brasilien (16. August 2021) ist Triheptanoin (UX007) schon zugelassen.

#### Wenn folgende Kriterien zutreffen, sollten Sie in Erwägung ziehen, dass Ihr Kind an der Studie teilnimmt:

- Ihr Kind ist jünger als 18 Jahre
- LC-FAOD ist bei Ihrem Kind klinisch bestätigt
- Ihr Kind zeigt anhaltend Symptome oder die Wahrscheinlichkeit ist sehr hoch, dass bei ihm Symptome in Zusammenhang mit LC-FAOD auftreten

### Was passiert während der Durchführung der Studie?



Körperliche Untersuchungen



Messung der Vitalzeichen



Ernährungsbeurteilungen



Hörtests



Blut- und Urinuntersuchungen



Fragebogen



Tägliche Gabe von Triheptanoin oder MCT-Öl

### Was bedeutet eine Studienteilnahme?

#### Studiendauer:



Voruntersuchung:  
Bis zu 1 Monat



Studienbehandlung:  
Mindestens 2 Jahre



Sofern zulässig, werden Reisekosten für Besuchstermine in der Klinik erstattet.



#### Studienbehandlung:

Ihr Kind wird nach dem Zufallsprinzip einer Studienbehandlung mit entweder Triheptanoin (Wahrscheinlichkeit 50 %) oder MCT-Öl (Wahrscheinlichkeit 50 %) zugeteilt. Weder Sie noch der Prüfarzt wissen, welche Behandlung Ihr Kind erhält.



#### Besuchstermine:

Ihr Kind wird alle 6 Monate einen Besuchstermin in der Studienklinik wahrnehmen. Diese Besuchstermine umfassen Laboruntersuchungen und ärztliche Beurteilungen. Ihr Kind wird im Rahmen der Studie außerdem jeden Monat einen Telefontermin wahrnehmen. Monatliche Telefontermine helfen dem Studienteam, die Gesundheit Ihres Kindes zwischen den Besuchsterminen zu überwachen.



Wenn Sie mehr über diese Studie erfahren möchten, wenden Sie sich bitte an [TrialRecruitment@Ultragenyx.com](mailto:TrialRecruitment@Ultragenyx.com).

