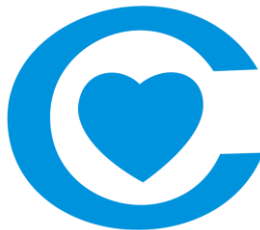




AGENCJA
BADAŃ
MEDYCZNYCH



em^opatia

Szanowni Państwo! Drodzy Rodzice!

Ogłaszamy nabór do niekomercyjnego badania klinicznego dla pacjentów chorujących na **glikogenozę typu 1b**, finansowanego przez Agencję Badań Medycznych:

„Ocena skuteczności i bezpieczeństwo empagliflozyny w leczeniu neutropenii u pacjentów z glikogenozą 1b” (EMPA^otia).

Jeżeli Ty lub Twoje dziecko chorujesz na glikogenozę typu 1b zapraszamy do udziału w badaniu! Od niedawna wiadomo, że u pacjentów z glikogenozą 1b nieprawidłowe działanie i zmniejszona liczba neutrofilów (komórek pierwszej linii obrony organizmu przed zakażeniami) powodowane jest przez nadmiar substancji nazywanej 1,5 anhydroglucitolem.

Empagliflozyna, lek stosowany do leczenia cukrzycy typu 2, powoduje zwiększone wydalanie 1,5 anhydroglucitolu z organizmu. Zmniejszenie stężenia

1,5 anhydroglucitolu w organizmie skutkuje poprawą funkcjonowania neutrofilii i zwiększeniem ich liczby we krwi.

Badacze mają nadzieję, że leczenie empagliflozyną umożliwi zmniejszenie dawki czynnika wzrostu dla neutrofilii, a nawet całkowite jego odstawienie bez wzrostu ryzyka zakażeń czy nasilenia objawów choroby jelit.

Do badania może być zakwalifikowany każdy pacjent z rozpoznaną glikogenezą Ib od 2-giego miesiąca życia, z wyjątkiem chorych z przewlekłą chorobą nerek (GFR <60ml/min/1,73 m²), pacjentów będących w ciąży i w okresie karmienia piersią. Przez cały okres badania (2 lata) lek oraz niezbędny sprzęt będą finansowane z funduszy Agencji Badań Medycznych. Wymagane będzie jedynie wyrażenie świadomej zgody i zgłaszanie się terminowe na zaplanowane hospitalizacje kontrolne.

Możliwymi działaniami niepożądanymi leczenia empagliflozyną jest obniżenie we krwi stężenia glukozy (hipoglikemia) i większe ryzyko zakażeń układu moczowego dlatego pacjenci zostaną wyposażeni w system stałego podskórnego monitorowania glikemii, glukometr (wraz ze sprzętem niezbędnym do ich funkcjonowania m.in. paski do glukometru – na okres trwania całego badania) i paski do przesiewowego badania moczu (w pełni finansowane z funduszy Agencji Badań Medycznych).

Badanie będzie przeprowadzane w dwóch renomowanych ośrodkach klinicznych w Polsce: **Klinice Pediatrii, Żywienia i Chorób Metabolicznych Instytutu „Pomnik- Centrum Zdrowia Dziecka”** w Warszawie (pacjenci do 18 roku życia), Al. Dzieci Polskich 20

i **Klinice Chorób Wewnętrznych, Nadciśnienia Tętniczego i Angiologii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego** (powyżej 18 roku życia), ul. Banacha 1a.

Osoby zainteresowane badaniem – rodziców pacjentów i pacjentów do 18 roku życia (wymagana będzie zgoda obojga rodziców, a w przypadku pacjenta >13 roku życia także jego zgoda) prosimy o zgłaszanie się mailowo **metabolizmczd@gmail.com** lub pod numerem **22- 815-74-94, 22- 815-74-07** (od poniedziałku do piątku w godz. 8:00 – 15:00).

W przypadku pacjentów dorosłych mailowo **badanie.empatia@wum.edu.pl** lub telefonicznie pod numerem **22- 599-10-28, 22- 599-28-28** (od poniedziałku do piątku w godz. 8:00 – 15:00).