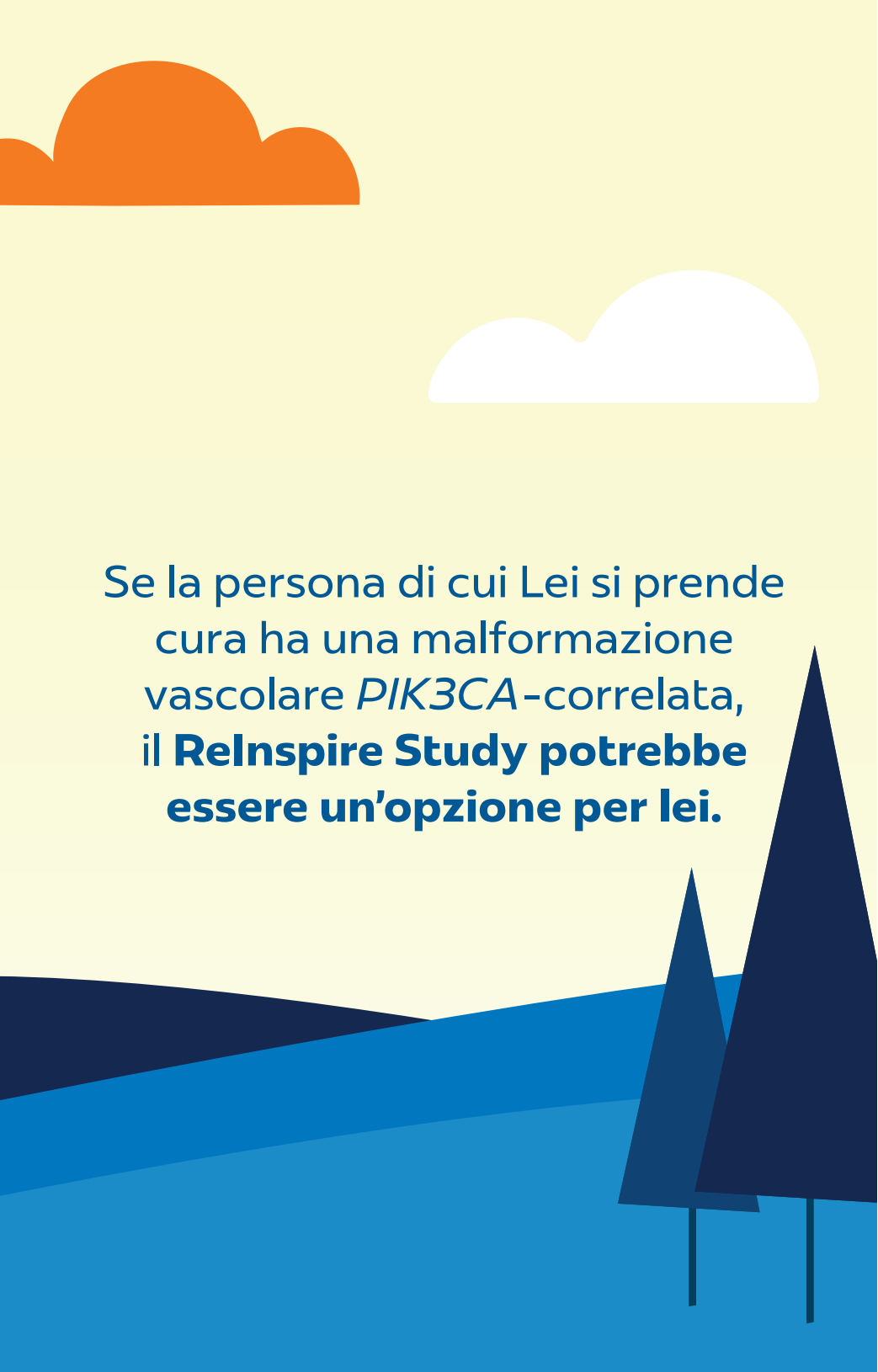
A stylized landscape illustration with a winding blue path leading through a field of purple flowers towards a sunset over rolling hills. The sky is a gradient of yellow and orange, and the hills are in shades of orange and red. Dark blue evergreen trees are scattered throughout the scene.

## Un trattamento più selettivo potrebbe significare un futuro più luminoso?

Si consiglia di prendere in considerazione la ricerca clinica per soggetti affetti da malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate, tra cui malformazioni linfatiche e spettro di crescita eccessiva correlata al gene *PIK3CA* (PROS).



Se la persona di cui Lei si prende cura ha una malformazione vascolare *PIK3CA*-correlata, il **ReInspire Study potrebbe essere un'opzione per lei.**

## Cosa sono le malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate?

Le malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate possono includere malformazioni linfatiche e spettro di crescita eccessiva correlata al gene *PIK3CA* (PROS). Il PROS comprende sindromi quali Klippel-Trenaunay, CLOVES, FAVA, MCAP e altre. Questo studio di ricerca clinica è stato disegnato per conoscere una potenziale nuova opzione di trattamento per le malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate. Questi tipi di malformazioni sono causate da mutazioni o cambiamenti nel gene *PIK3CA*, che crea una forma malfunzionante della proteina PI3K $\alpha$ . In caso di mutazione, PI3K $\alpha$  può causare malformazioni vascolari e/o crescite eccessive in tutto il corpo, insieme ad altri sintomi. Sebbene l'esperienza di ciascuno sia unica, i sintomi comuni includono dolore, gonfiore, infezioni e compromissione delle funzioni fisiche, che possono influire significativamente sulla qualità della vita.

### Informazioni sul ReInspire Study

Il ReInspire Study sta valutando un farmaco sperimentale in studio per il trattamento delle malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate. Per "sperimentale" si intende che il farmaco in studio non è ancora stato approvato da un'agenzia regolatoria, come l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) nell'Unione Europea, o da altre autorità competenti, e non è disponibile al di fuori di uno studio di ricerca clinica.



## Informazioni sul farmaco sperimentale in studio

Il farmaco in studio va assunto per via orale ed è progettato per ostacolare in modo specifico la proteina PI3K $\alpha$  mutata che può causare malformazioni vascolari *PIK3CA*-correlate. Agendo in modo selettivo sulle proteine mutate e limitando l'impatto sulle proteine non mutate, il farmaco in studio mira a ridurre gli effetti collaterali e a fornire un trattamento più efficace rispetto alle terapie non selettive sulle mutazioni.

## Parti dello studio

Il ReInspire Study si compone di tre parti. I partecipanti potranno essere arruolati a una sola parte.




La **Parte 1** determinerà la dose (o le dosi) del farmaco in studio che fornisce i maggiori benefici con i minori effetti collaterali.

La **Parte 2** continuerà a raccogliere dati sulla sicurezza e sull'efficacia della dose (o più dosi) raccomandata individuata durante la Parte 1.

La **Parte 3** si aprirà dopo le Parti 1 e 2 e confermerà ulteriormente l'effetto terapeutico del farmaco. I partecipanti saranno assegnati casualmente a uno dei due gruppi: un gruppo riceverà il farmaco in studio, mentre l'altro gruppo riceverà un placebo (una pillola che ha lo stesso aspetto del farmaco in studio ma non contiene alcun principio attivo).

## Disegno dello studio

Per partecipare allo studio, la persona di cui si prende cura dovrà innanzitutto dare il suo consenso, o permesso, leggendo e firmando il modulo di consenso informato. Indipendentemente dalla parte del ReInspire Study in cui la persona di cui si prende cura sarà arruolata, la sua partecipazione comprenderà tre periodi:

-  **Screening:** Un medico dello studio valuterà la persona di cui Lei si prende cura per verificare se lo studio è adatto a lei.
  - Durante questo periodo, la persona di cui si prende cura dovrà sottoporsi a uno o più visite di screening per completare i test o le procedure, quali esame obiettivo, esami di laboratorio di routine, risonanza magnetica e altri, al fine di determinare se soddisfa i requisiti per partecipare.
-  **Trattamento:** Se lo studio è adatto alla persona di cui si prende cura e quest'ultima accetta di parteciparvi, inizierà ad assumere il farmaco in studio e a partecipare a visite mensili presso il centro dello studio. Il periodo di trattamento durerà per tutto il tempo che la persona di cui si prende cura e il medico riterranno opportuno, o fino al termine dello studio.
-  **Follow-up:** Se la persona di cui si prende cura interrompe l'assunzione del farmaco in studio, il medico dello studio continuerà a monitorare la sua salute per un determinato periodo di tempo.

## Chi può partecipare?

**Per partecipare a questo studio, la persona di cui si prende cura deve:**

- Avere una diagnosi di malformazione vascolare *PIK3CA*-correlata, come ad esempio malformazione linfatica o PROS (comprende sindromi quali Klippel-Trenaunay, CLOVES, FAVA, MCAP, e altre)
- NON avere un altro fattore genetico noto come causa della malattia

Si applicano ulteriori requisiti. Discuta con il medico della persona di cui si prende cura per valutare se il ReInspire Study possa rappresentare un'opzione.

**Per saperne di più, visiti il sito**

**[clinicaltrials.gov/study/NCT06789913](https://clinicaltrials.gov/study/NCT06789913) o scriva un'e-mail all'indirizzo [clinicaltrials@relaytx.com](mailto:clinicaltrials@relaytx.com).**



## Cosa bisogna sapere sugli studi di ricerca clinica

Gli studi di ricerca clinica, chiamati anche sperimentazioni cliniche, mirano a rispondere a domande specifiche sul funzionamento dei farmaci nei partecipanti che li assumono. Lei e la persona di cui Lei si prende cura dovete essere pienamente informati su cosa aspettarsi dalla partecipazione a uno studio clinico.

### **I ricercatori utilizzano gli studi di ricerca clinica per:**

- Imparare a conoscere la sicurezza e gli effetti dei farmaci sperimentali
- Aiutare a trovare nuove modalità di utilizzo di alcuni farmaci
- Identificare nuove opzioni di trattamento
- Rispondere a domande specifiche sulla salute

La partecipazione a uno studio di ricerca clinica è volontaria (è una scelta Sua e della persona di cui si prende cura). Il team dello studio clinico informerà la persona di cui si prende cura dei potenziali rischi e benefici della partecipazione, nonché dei possibili effetti collaterali. Per prendere una decisione informata, si rivolga alla persona di cui si prende cura e ai suoi operatori sanitari per qualsiasi domanda.

### **Tutti gli studi di ricerca clinica sono:**

- Sviluppati per tutelare i diritti, la sicurezza e il benessere dei partecipanti
- Condotti secondo principi etici e scientifici rigorosi
- Esaminati e approvati da comitati di revisione istituzionali (IRB) o dal comitato etico (CE)