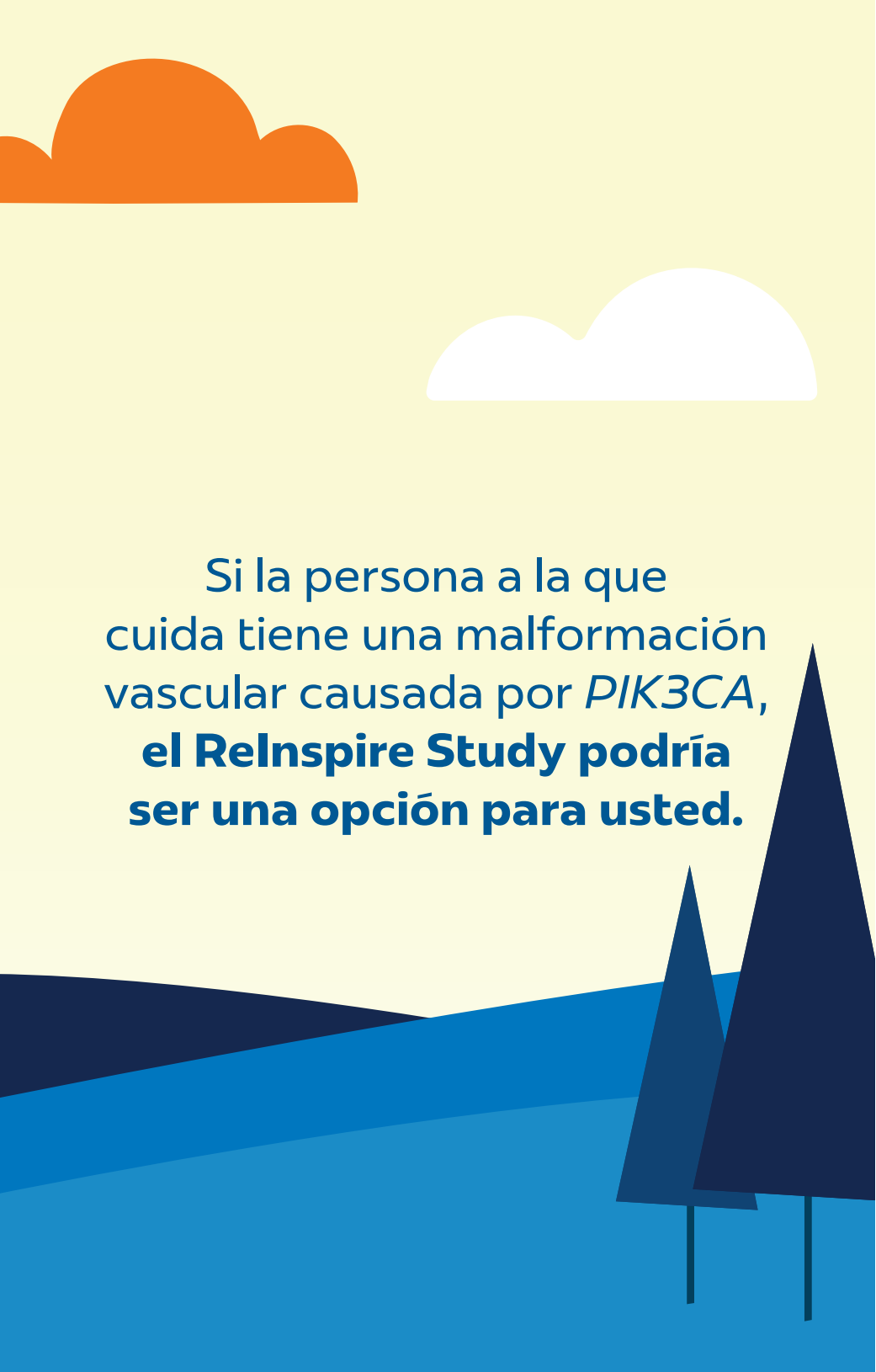
A stylized landscape illustration with a winding blue path leading through a field of blue and purple flowers. In the background, there are rolling hills in shades of orange and yellow, and a large white sun or moon in a yellow sky. Dark blue evergreen trees are scattered throughout the scene.

¿Un **tratamiento más selectivo** podría significar días más esperanzadores?

Considere la investigación clínica para personas con malformaciones vasculares causadas por *PIK3CA*, incluidas las malformaciones linfáticas y el síndrome de sobrecrecimiento relacionado con *PIK3CA* (PROS, por sus siglas en inglés).



Si la persona a la que cuida tiene una malformación vascular causada por *PIK3CA*, **el ReInspire Study podría ser una opción para usted.**

¿Qué son las malformaciones vasculares causadas por *PIK3CA*?

Las malformaciones vasculares causadas por *PIK3CA* pueden incluir malformaciones linfáticas o el síndrome de sobrecrecimiento relacionado con *PIK3CA* (*PROS*). El espectro de *PROS* incluye síndromes como Klippel-Trenaunay, el síndrome de sobrecrecimiento lipomatoso congénito con malformaciones vasculares, nevus epidérmicos y anomalías esqueléticas (*CLOVES*, por sus siglas en inglés), la anomalía vascular fibro-adiposa (*FAVA*, por sus siglas en inglés) y el síndrome de megalencefalia-malformación capilar-polimicrogiria (*MCAP*, por sus siglas en inglés), entre otros.

Este estudio de investigación clínica está diseñado para evaluar una posible nueva opción de tratamiento para las malformaciones vasculares causadas por *PIK3CA*. Este tipo de malformaciones está causado por mutaciones o cambios en el gen *PIK3CA*, que dan lugar a una forma defectuosa de la proteína *PIK3Cα*. Cuando hay mutaciones, *PIK3Cα* puede provocar malformaciones vasculares y/o sobrecrecimientos en todo el cuerpo, junto con otros síntomas. Aunque cada persona tiene una experiencia única, entre los síntomas comunes se incluyen dolor, hinchazón, infecciones y limitaciones de la función física, lo que puede afectar considerablemente la calidad de vida.

Qué es el ReInspire Study

El ReInspire Study está evaluando un medicamento en fase de investigación para el tratamiento de malformaciones vasculares causadas por *PIK3CA*. «En investigación» significa que el medicamento del estudio aún no ha sido aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA, por sus siglas en inglés) ni por ningún otro organismo regulador, como la Comisión Europea en la UE, y no está disponible fuera de un estudio de investigación clínica.



Información sobre el fármaco en investigación del estudio

El fármaco en investigación que se está evaluando se llama RLY-2608. Es un fármaco de administración oral diseñado para inhibir específicamente la proteína PIK3C α mutada que puede causar malformaciones vasculares asociadas a PIK3CA. Al dirigirse de forma selectiva a las proteínas mutadas y limitar el impacto sobre las proteínas no mutadas, el fármaco en investigación busca reducir los efectos secundarios y ofrecer un tratamiento más eficaz que las terapias no selectivas para mutaciones.

Partes del estudio

El Relnspire Study consta de tres partes. Cada persona solo participará en una de las partes.




La parte 1 servirá para determinar la(s) dosis de RLY-2608 que ofrezca(n) el mayor beneficio con los menores efectos secundarios.

La parte 2 continuará recopilando datos sobre la seguridad y la eficacia de la(s) dosis recomendada(s) identificada(s) en la parte 1.

La parte 3 comenzará después de las partes 1 y 2 y confirmará con más detalle el efecto del tratamiento con el fármaco.

Diseño del estudio

Para participar en el estudio, la persona a la que cuida primero deberá dar su consentimiento, es decir, su autorización, tras revisar y firmar el documento de consentimiento informado. Independientemente de en qué parte del Relnspire Study participe la persona a la que cuida, su participación se dividirá en tres periodos:

-  **Selección:** un médico del estudio evaluará a la persona a la que usted está cuidando, para determinar si el estudio es adecuado para ella.
 - Durante este periodo, la persona a la que cuida acudirá a una o varias visitas de selección para realizar pruebas o procedimientos, tales como una exploración física, análisis rutinarios, una resonancia magnética (RM), entre otros, con el fin de determinar si reúne los requisitos para participar.
-  **Tratamiento:** si el estudio es adecuado para la persona a la que cuida y esta acepta participar, comenzará a tomar el fármaco del estudio y acudirá a visitas mensuales al centro del estudio. El periodo de tratamiento continuará mientras la persona a la que cuida y su médico consideren que es lo más adecuado para ella, o hasta que finalice el estudio.
-  **Seguimiento:** si la persona a la que cuida deja de tomar el fármaco del estudio, su médico del estudio seguirá pendiente de su salud durante un periodo determinado.

¿Quién puede participar?

Para participar en este estudio, la persona a la que cuida debe:

- Habérsele diagnosticado una malformación vascular causada por *PIK3CA*, como una malformación linfática o un síndrome incluido en PROS, que incluye síndromes como Klippel-Trenaunay, CLOVES, FAVA y MCAP, entre otros.
- NO tener otra alteración genética conocida que cause su enfermedad.

Habrán otros requisitos adicionales. Hable con el médico de la persona a la que cuida para saber si el ReInspire Study puede ser una opción para ella.

Para obtener más información, visite clinicaltrials.gov/study/NCT06789913 o escriba a clinicaltrials@relaytx.com.



¿En qué consisten los estudios de investigación clínica?

Los estudios de investigación clínica o ensayos clínicos tienen como objetivo dar respuesta a preguntas específicas sobre cómo funcionan los medicamentos en las personas participantes a las que se les administran. Usted y la persona a la que cuida deben estar plenamente informados sobre lo que pueden esperar de su participación en un estudio de investigación clínica.

Los equipos de investigación clínica se valen de los estudios para:

- Conocer la seguridad y los efectos de los medicamentos en investigación;
- Descubrir nuevas formas de utilizar determinados medicamentos;
- Identificar nuevas opciones de tratamiento
- Responder a preguntas específicas en el ámbito médico.

La participación en cualquier estudio de investigación clínica es voluntaria (una decisión suya y de la persona a la que cuida). El equipo del estudio de investigación clínica informará a la persona a la que cuida sobre los posibles riesgos y beneficios de participar, así como sobre los efectos secundarios que puedan presentarse. Para tomar una decisión informada, hable con la persona a la que cuida y con sus profesionales sanitarios sobre cualquier duda que ambos puedan tener.

Todos los estudios de investigación clínica:

- Se realizan para proteger los derechos, la seguridad y el bienestar de las personas participantes;
- Se llevan a cabo siguiendo principios científicos y éticos rigurosos;
- Son revisados y aprobados por un Comité de Ética de la Investigación con medicamentos (CEIm)