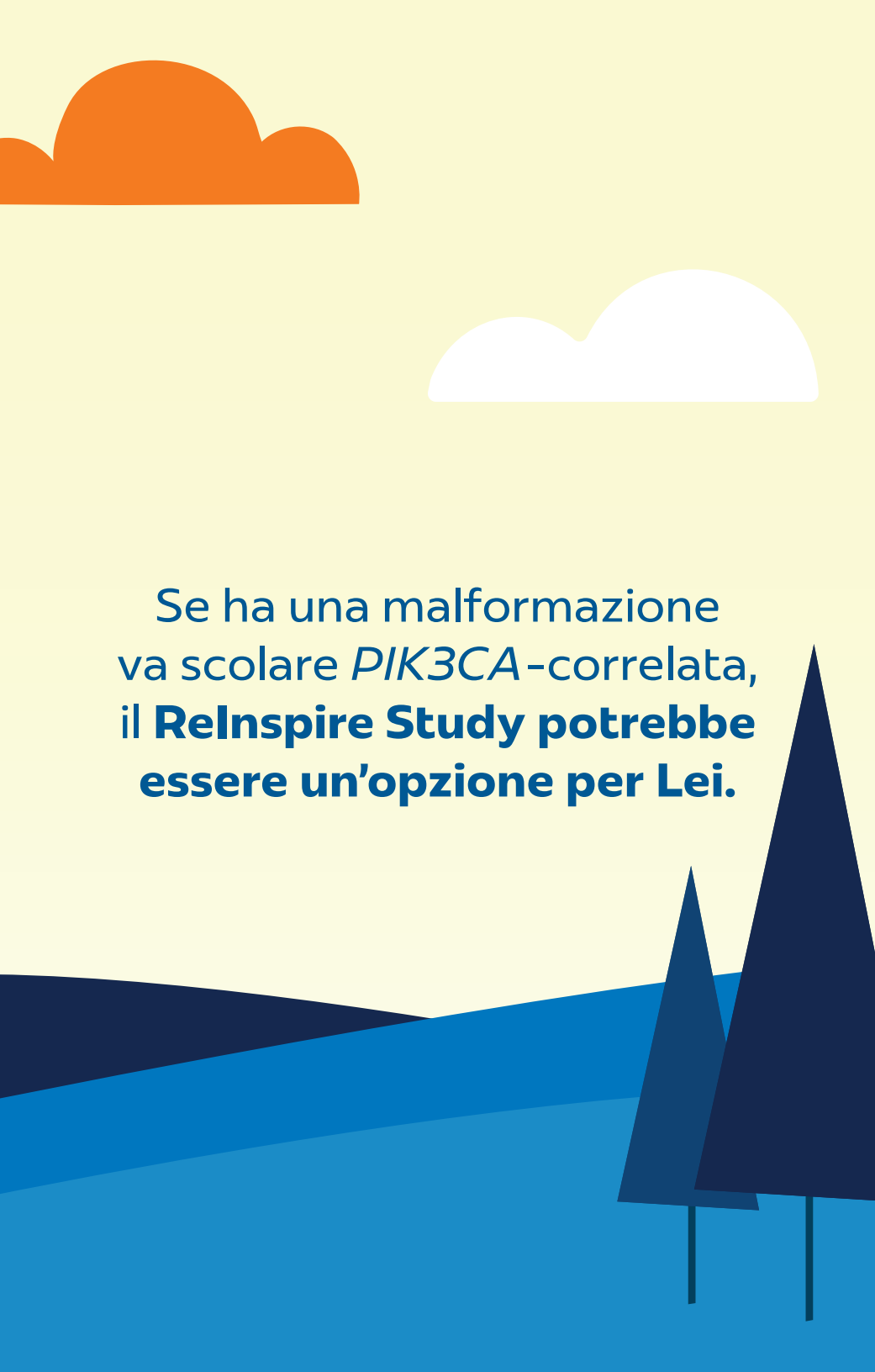
A stylized landscape illustration with a winding blue path leading towards a sunset. The sky is a gradient of yellow and orange, with a large white sun. The background consists of layered hills in shades of orange and red. Several dark blue evergreen trees are scattered across the scene. In the foreground, there are purple and white flowers with dark blue leaves.

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 ha una malformazione  
va scolare *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, dovrà innanzitutto dare il Suo consenso, o permesso, leggendo e firmando il modulo di consenso informato. Indipendentemente dalla parte del ReInspire Study in cui sarà arruolato/a, la Sua partecipazione comprenderà tre periodi:

-  **Screening:** Un medico dello studio La valuterà per verificare se lo studio è adatto a Lei.
  - Durante questo periodo, Lei 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 a Lei e 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 Lei e il medico riterrete opportuno, o fino al termine dello studio.
-  **Follow-up:** Se 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 è necessario:

- 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. Chieda al Suo medico se il ReInspire Study è adatto a Lei.

### 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. È importante 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 qualsiasi studio di ricerca clinica è volontaria (è una Sua scelta). Il team dello studio clinico La informerà dei potenziali rischi e benefici della partecipazione, nonché dei possibili effetti collaterali. Per prendere una decisione informata, si rivolga 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)