



Participe en la investigación sobre OTC y ayude a producir un impacto.

¿Por qué estamos realizando este estudio?

DTX301 es un tratamiento genético (genoterapia) en fase de investigación que se está desarrollando para el tratamiento de la deficiencia de ornitina transcarbamilasa (OTC). El objetivo de este estudio es determinar la eficacia y confirmar la seguridad de DTX301 en pacientes de 12 años o más con deficiencia de OTC de inicio tardío.

Considere participar si:

- Tiene 12 años o más
- Tiene un diagnóstico confirmado de deficiencia de OTC de inicio tardío
- Está dispuesto/a y es capaz de cumplir con los procedimientos y requisitos del estudio, incluidas las hospitalizaciones periódicas
- Requiere un tratamiento diario con medicamentos para eliminar el amoníaco y/o una dieta con restricción de proteínas

¿Qué implica?



Duración del estudio:

- Hasta 6,5 años
- Período de selección: hasta 8 semanas
- Período de seguimiento: unos 4 o 5 años, dependiendo de cuándo reciba DTX301
 - Este seguimiento a largo plazo es importante para los pacientes que reciben productos de genoterapia en fase de investigación y es estándar en todos los ensayos de genoterapia
- Período de análisis de la eficacia primaria: 15 meses



Tratamiento del estudio:

- Todos los participantes recibirán DTX301, ya sea el Día 1 o en la Semana 64 (si siguen reuniendo los requisitos).



Visitas del estudio:

- En las visitas clínicas durante el ingreso hospitalario y en las visitas ambulatorias a lo largo del estudio se le harán pruebas analíticas y evaluaciones clínicas, además de revisar su diario electrónico del estudio. El número de visitas dependerá de cuándo reciba DTX301.

Qué esperar:



Infusión del medicamento del estudio en el brazo



Análisis de sangre y de orina



Exploraciones físicas y constantes vitales



Pruebas cognitivas



Anotaciones y revisión de diarios electrónicos*



Cuestionarios de salud y enfermedad



Entrevistas de ingreso y salida

* Las anotaciones en el diario electrónico son un componente clave para comprender la experiencia de los participantes. Se trata de anotaciones **diarias** sobre su dieta, su medicamento para la deficiencia de OTC y cómo se siente desde el inicio de la selección hasta que hayan transcurrido los aproximadamente 2,5 años del estudio.



Si desea obtener más información sobre el estudio OTC,
póngase en contacto con TrialRecruitment@Ultragenyx.com

En Ultragenyx, tenemos como cometido ofrecer a los pacientes tratamientos nuevos para enfermedades raras y ultra raras.