



Come si articola lo studio?

La partecipazione prevede **una prima visita** per verificare che le condizioni di suo/a figlio/a soddisfino i criteri richiesti dallo studio.

Successivamente saranno previste **sei visite di controllo** presso il nostro centro dopo 1 settimana, 2 settimane, 1 mese, 2 mesi, 3 mesi (fine del trattamento) e dopo 2 mesi dalla fine del trattamento (dopo 5 mesi dall'inizio del trattamento).

Quali indagini prevede lo studio?



Durante le visite* suo/a figlio/a verrà sottoposto ad alcune indagini, tra cui:

- ✓ Valutazione clinica;
- ✓ Valutazione psicologica;
- ✓ Valutazione nefrologica
- ✓ Prelievo di sangue;
- ✓ Analisi delle urine;
- ✓ Esame audiometrico;
- ✓ Elettroencefalogramma;
- ✓ Elettrocardiogramma;
- ✓ Test di gravidanza (se applicabile).

Verrà inoltre richiesta la sua collaborazione per la compilazione di alcuni questionari su aspetti psicologici e comportamentali di suo/a figlio/a.

*Non tutte le indagini sono previste in ogni visita.

Che implicazioni comporta nella vita quotidiana?



Suo/a figlio/a dovrà assumere il farmaco sperimentale **due volte al giorno per tre mesi**, a meno di diverse indicazioni da parte del medico, rispettando la modalità di somministrazione (via orale) e il dosaggio del farmaco secondo piano terapeutico che verrà concordato con il medico durante la prima visita e monitorato durante le visite successive. Suo/a figlio/a potrebbe manifestare alcuni effetti collaterali ben caratterizzati e che saranno eventualmente monitorizzati insieme al medico.

Che benefici avrà mio/a figlio/a?



Sebbene non esista nessuna garanzia che suo/a figlio/a tragga beneficio dal farmaco sperimentale, le informazioni raccolte saranno importanti per verificarne l'utilità nel contrastare i meccanismi biologici che causano i deficit cognitivi nella sindrome di Down e permetterebbe di continuare la sperimentazione clinica fino a giungere alla messa a punto di un possibile trattamento per i sintomi cognitivi e psicopatologici nella sindrome di Down.

IRCCS
OSPEDALE PEDIATRICO
BAMBINO GESÙ

Un farmaco per migliorare la memoria nella sindrome di Down



Uno studio clinico **STA RECLUTANDO** partecipanti per valutare l'efficacia di un **farmaco** per migliorare le abilità di memoria di **bambini e adolescenti** con **sindrome di Down**.



Bambino Gesù
OSPEDALE PEDIATRICO

Chi può partecipare allo studio?



Bambini e adolescenti con **sindrome di Down** tra i **10 e 17 anni** di età.



Esistono inoltre altri criteri da soddisfare prima che suo/a figlio/a possa accedere allo studio. L'equipe di studio ve ne parlerà e sottoporrà suo/a figlio/a ad una valutazione preliminare per accertare che soddisfatti tutti i requisiti necessari alla partecipazione.



Per ulteriori informazioni potrà contattarci ai seguenti indirizzi:

 **Prof. Stefano Vicari:**
stefano.vicari@opbg.net

 **Dott. Paolo Alfieri:**
paolo.alfieri@opbg.net

 **Dott.ssa Floriana Costanzo:**
floriana.costanzo@opbg.net



Inquadra il
QR Code

Cos'è uno studio clinico?



Uno studio clinico si propone di verificare la sicurezza e l'efficacia di nuovi potenziali trattamenti. Gli studi clinici farmacologici prevedono la valutazione di farmaci sperimentali secondo modalità organizzate, strutturate e scientifiche. La partecipazione ad uno studio clinico è volontaria e completamente gratuita. La decisione di partecipare o meno non avrà alcun effetto sull'assistenza medica ricevuta attuale e futura. L'adesione allo studio può essere revocata in qualsiasi momento e per qualsiasi motivo.

Cosa deve sapere sullo studio?



Lo studio valuterà l'efficacia clinica di un farmaco diuretico noto, il Bumetanide, nel migliorare la memoria ed il funzionamento psicologico di bambini e adolescenti con sindrome di Down ed avrà una durata di cinque mesi.

È prevista la suddivisione dei partecipanti in due gruppi: uno riceverà il trattamento farmacologico e l'altro il placebo (che non contiene il principio attivo), per la durata di tre mesi.

Né il personale dello studio, né il partecipante saranno a conoscenza o potranno scegliere il trattamento da assumere per garantire la validità dei risultati ottenuti.

Perché partecipare allo studio?



La sindrome di Down è una delle cause principali di disabilità intellettiva geneticamente definita. È caratterizzata da basso quoziente intellettivo e da deficit cognitivi, soprattutto di memoria e apprendimento.

Il farmaco sperimentale potrebbe contrastare alcuni meccanismi biologici che causano i deficit cognitivi con possibili benefici futuri sia per suo/a figlio/a che per le persone con la stessa sindrome, essendone stata già comprovata l'efficacia in altri disturbi del neurosviluppo.

Dove si svolge lo studio?



Tutte le indagini previste si effettueranno in regime ambulatoriale e avranno durata massima di una giornata per ogni visita. Tutte le indagini si svolgeranno esclusivamente presso l'IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma - Unità Operativa Complessa Trials (Piazza Sant'Onofrio, 4 - 00165, Roma).



Bambino Gesù
OSPEDALE PEDIATRICO