

## FORMULARIO DE CONSENTIMIENTO INFORMADO/ASENTIMIENTO PARA NIÑOS

**TÍTULO:** Estudio abierto de escalamiento de dosis de fase I/II para evaluar la seguridad, farmacocinética y farmacodinamia de NV1205 en sujetos pediátricos de sexo masculino con adrenoleucodistrofia cerebral infantil (ALD cerebral infantil)

**PROTOCOLO NO:** NV1205-009

**PATROCINADOR:** NeuroVia, Inc. / Representado en Chile por ReSolution Latin America Chile y Cía., Ltda, Pica 1788, Las Condes, Santiago de Chile, Chile

**INVESTIGADOR:** Dr. RICARDO ERAZO TORRICELLI  
**RUT:** 6 206275-4

**CENTRO(S):** Hospital Dr. Luis Calvo Mackenna, Subdivisión Neurología, ANTONIO VARAS 360 PROVIDENCIA, SANTIAGO, CHILE

### NÚMEROS DE TELÉFONO RELACIONADOS CON EL ESTUDIO

**DIURNO:** 2 225756029  
**DURANTE LAS 24 HORAS:** 9 933 07013

### ¿Por qué se está haciendo este estudio?

Te estoy invitando a participar en este estudio de investigación porque tienes una enfermedad llamada adrenoleucodistrofia cerebral infantil (ALD cerebral infantil). En este estudio de investigación, se está invitando a participar a varones de entre 4 y 18 años con adrenoleucodistrofia cerebral infantil.

La droga del estudio se llama NV1205. Este estudio podría ayudarnos a aprender más sobre la adrenoleucodistrofia cerebral infantil. Este estudio podría ayudarnos a saber si esta nueva medicación ayudará a los niños con adrenoleucodistrofia cerebral infantil.

Te voy a dar información y te voy a invitar a participar en un estudio de investigación. Puedes decidir si deseas participar en el estudio. Hemos conversado sobre esta investigación con tu padre/madre/tutor y ellos saben que te estamos preguntando si deseas participar en el estudio. Si fueras a unirse al estudio, tu padre/madre/tutor también tendrá(n) que estar de acuerdo. Pero si no quieres participar en el estudio, no tienes que hacerlo, aún en el caso de que tus padres hayan aceptado que lo hagas. Puedes conversar acerca de toda la información incluida en este formulario con tus padres o amigos o con cualquier otra persona que tú quieras. Puedes decidir si deseas participar después de haberlo conversado. No tienes que decidirlo hoy.

Es posible que te encuentres con palabras que no entiendes o con cosas que quieres que te explique. Por favor, pídemelo que pare en cualquier momento y me tomaré el tiempo para explicarte.



COMITE DE ETICA CIENTIFICO  
PEDIATRICO  
SERVICIO DE SALUD  
METROPOLITANO ORIENTE

10-01-2018

La droga del estudio no se ha administrado nunca a niños con adrenoleucodistrofia cerebral infantil. Sin embargo, la droga del estudio se ha administrado a adultos.

Algunas personas con ALD cerebral infantil pueden someterse a un trasplante de médula ósea. También se administra aceite de Lorenzo para tratar la ALD cerebral infantil.

### **¿Qué sucederá durante el estudio?**

Si participas en el estudio, estarás en el estudio durante hasta dos años. Entre visitas, te darán la droga del estudio para que la tomes en tu casa.

Si aceptas participar en este estudio, se realizarán las siguientes pruebas. Si no entiendes lo que significa cada una de estas pruebas, por favor pídemle que te las explique.

- Realizarás una visita para asegurarnos de que puedes participar en el estudio.
- Se te pedirá que vengas a la clínica temprano por la mañana y que no comas nada antes de tu visita.
- Te preguntarán por tu salud y si has estado enfermo o has tomado algún medicamento.
- En cada visita, te preguntarán cómo te sientes y si tomaste algún medicamento nuevo.
- Tu médico te revisará, tomará tu peso, altura y temperatura y controlará el funcionamiento de tu corazón (signos vitales).
- Te extraerán muestras de sangre y de orina para estudiar el funcionamiento de la tiroides, el hígado y el corazón y para analizar un tipo de grasa en la sangre y determinar la cantidad de la droga del estudio que tienes en el cuerpo.
- Te harán una prueba llamada Imágenes por Resonancia Magnética (IRM) del cerebro. Te acostarás en una camilla móvil con tu cabeza apoyada en un apoyacabezas y con los brazos a los costados. La camilla se moverá lentamente hacia el interior de un tubo que toma fotografías del cerebro. Oirás un sonido sordo de “golpeteo” durante varios minutos seguidos. Este es el sonido que indica que se están tomando las fotografías. Es posible que te administren una medicación en el brazo para tomar la imagen. Es posible que te administren una medicación para calmarte o dormirte antes de la prueba.
- Durante las Imágenes por Resonancia Magnética, podría realizarse una Espectroscopía de Cerebro por Resonancia Magnética (ERM).
- Tu médico te examinará para ver el funcionamiento de tus ojos, cómo hablas y cómo caminas.
- Si estás de acuerdo, se te colocará una aguja en la espalda para extraer un poco de líquido. Esta prueba se llama punción lumbar.
- Te harán pruebas para evaluar el funcionamiento de tu corazón. Estas pruebas se llaman electrocardiograma (ECG) de 12 derivaciones y ecocardiograma transtorácico (ETT).
- Te harán un examen de los ojos. Es posible que tu médico use unas gotas especiales para ayudarlo a examinar tus ojos.
- Te preguntarán si te gusta el sabor de la droga del estudio.



Tu padre/madre/tutor tiene(n) un documento de consentimiento que explica lo que te sucederá durante el estudio. Si participas en el estudio, ellos se comprometen a traerte y quedarse contigo cuando veas al médico.

No sabemos lo que la medicación del estudio puede hacerle a un niño que aún no ha nacido. Te pediremos que no concibas un niño durante el estudio. Conversaremos acerca de cómo evitar el embarazo durante el estudio. La mejor manera de no concebir un niño es no tener ningún tipo de relaciones sexuales. Si efectivamente concibes un niño durante el estudio, es importante que se lo cuentes al médico del estudio de inmediato.

### **¿Qué tendrás que hacer durante este estudio?**

Para velar por tu seguridad y asegurarnos de que los resultados del estudio sean correctos, es importante que hagas lo siguiente:

- Que veas a tu médico.
- Que tomes la droga del estudio.
- Que le digas a tu médico si no hiciste algo que tu médico te pidió que hicieras.
- Que le digas a tu médico si te sientes enfermo o tomas nuevos medicamentos.
- Que le digas a tu médico si quieres dejar el estudio en cualquier momento.
- Que no tomes alcohol ni comas alimentos que contengan maní antes de ver al médico.
- Que le digas a tu médico si has participado en algún estudio de investigación clínica en los últimos 12 meses

Los procedimientos o suministros requeridos durante el estudio, análisis de laboratorio, visitas al médico del estudio o a la clínica, o estadías en la clínica no tendrán ningún costo para tí. Durante el estudio, la droga del estudio se te entregará sin costo alguno. A tí no se te pagará por participar del estudio. Al médico del estudio y/o a la Institución se le pagará por su trabajo en el estudio. Tú tampoco eres responsable de este pago. Los costos de transporte y/o comidas en los que incurra para concurrir a las visitas del estudio serán cubiertos por el Patrocinador del estudio.

### **¿Qué sucede con la confidencialidad?**

Tus detalles e información personales del estudio se procesan de acuerdo con todas las leyes de protección de datos aplicables, que están formuladas para proteger su privacidad.

La información recogida y las muestras para este estudio será usada exclusivamente para estos fines y no para otros estudios. La información y las muestras no serán compartidas con otros investigadores ni instituciones, de manera de resguardar que no serán usados para otros fines. En todo momento se resguardará el anonimato del paciente, utilizando un código de manera de no relacionar los datos con la identidad

Tu identidad y todos los datos recopilados se mantendrán estrictamente confidenciales. Las muestras se destruirán al finalizar el estudio y no se usarán para otros fines.

### **¿Hay cosas buenas y cosas malas acerca del estudio?**

Tu adrenoleucodistrofia cerebral infantil puede hacer que tú no veas, oigas o camines bien. Todavía no sabemos si la medicación del estudio puede ayudar con esto, y esa es la razón por la cual estamos haciendo este estudio.



Algunas personas que han tomado la droga del estudio tuvieron dolor de cabeza, se sintieron cansados, sintieron que su corazón estaba latiendo demasiado rápido, sintieron sed, tuvieron dolor de panza, tuvieron que ir al baño con mayor frecuencia, tuvieron dolor en los ojos o no pudieron ver bien. Si surge nueva información sobre el funcionamiento de la droga del estudio, se la contaremos a ti y a tu padre/madre/tutor lo antes posible. Tal vez sientas otras cosas que no figuran en este formulario porque aún estamos aprendiendo acerca de la droga del estudio. No dejes de contarle a tu médico todas las cosas que sientas.

Es posible que sientas un poco de dolor o molestia a partir del pinchazo realizado con la aguja para sacarte sangre u obtener una muestra de líquido de la columna, si estás de acuerdo en que se realice este procedimiento. Es posible que te duela la cabeza a causa de la punción lumbar. A veces se forma un moretón, pero éste debería desaparecer en un par de días. Para las pruebas relacionadas con el corazón, tenemos que colocarte pegatinas sobre la piel, que podrían producir un sarpullido en el lugar donde se colocan. Habitualmente esto también desaparece rápido.

Para tomar las fotografías del cerebro, tendrás que acostarte y permanecer muy quieto en una máquina que se parece a un tubo. Te colocarán en el tubo para que la máquina funcione. La máquina hará ruido mientras toma las imágenes del cerebro. Es posible que te sientas asustado mientras sucede esto. Si así fuera, díselo al médico.

### **¿Quién se enterará de lo que hice en el estudio?**

Respetaremos tu privacidad. No daremos ningún tipo de información acerca tuyo a nadie sin tu consentimiento, a menos que nos veamos obligados a hacerlo por ley. Guardaremos una copia de este formulario de consentimiento con tus registros de salud. Te daremos una copia.

### **¿Puedo decidir si quiero participar en el estudio?**

Nadie se enojará ni se molestará si no quieres participar en el estudio. Si decides participar y luego te arrepientes, tienes la libertad de dejar el estudio después de haberlo conversado con tu médico. Tu decisión de participar o de retirarte de este estudio no afectará de modo alguno los tratamientos posteriores que recibas de tu médico del estudio o de este hospital y no implicará penalizaciones ni pérdida de los beneficios a los que tienes derecho de otro modo

En algunas situaciones, el médico del estudio o la compañía que financia el estudio puede decidir interrumpir el estudio. Si hay efectos negativos o evidencia suficiente de efectos positivos que no justifican continuar con el estudio, el patrocinador podría suspenderlo o cancelarlo. Esto podría suceder incluso si la medicina (o el tratamiento) administrada en el estudio está ayudando. Si esto sucede, el médico del estudio hablará con usted acerca de qué sucederá luego.

### **¿Qué sucederá en caso de daños relacionados con el estudio?**

Si tienes una emergencia médica mientras estás participando en el estudio, tendrás que obtener ayuda y avisar al Dr. Ricardo Erazo Torricelli lo antes posible llamando al 9 933 07013. Dicha asistencia se te proporcionará bajo la responsabilidad médica y legal del Investigador o el médico responsable que firme este consentimiento.

A fin de garantizar la cobertura de los gastos médicos en el caso de daños, el Patrocinador, NeuroVia, Inc. ha suscrito una póliza de seguro con la Compañía Chubb de Chile Compañía de Seguros Generales S.A. Esta póliza cubre el daño causado por la droga del estudio, así como también aquellos daños causados por los procedimientos solicitados para este estudio.



**¿Qué sucede cuando el proyecto de investigación finaliza?**

NV1205 está en sus primeras etapas de desarrollo. Por lo tanto, es posible que no puedas seguir recibiendo la droga del estudio indefinidamente. Cuando el estudio finalice, analizaremos otras opciones de tratamiento contigo. Después de completar la Parte 2, los sujetos que hayan sido beneficiados por el tratamiento y luego de ser verificada la elegibilidad por el Investigador Principal, pasarás a un protocolo de tratamiento continuo y recibirás tratamiento hasta que NV1205 esté disponible en el mercado, el Patrocinador discontinúe el desarrollo de NV1205 para la ALD cerebral infantil o el Patrocinador y/o el Investigador determine que los sujetos no se están beneficiando a partir del tratamiento continuo con NV1205.

Si tienes preguntas acerca de tus derechos como sujeto de investigación o si tienes preguntas, preocupaciones o quejas acerca de la investigación, puedes contactar a: Comité de Ética Científico Pediátrico Servicio de Salud Metropolitano Oriente, Hospital Dr. Luis Calvo Mackenna Antonio Varas 360 - Santiago – Chile, Francisca Browne Lopez, Presidente, teléfono: +56 2 2236 4723, E-mail: [comite@comite-ssmo.cl](mailto:comite@comite-ssmo.cl).

Estamos conversando con tus padres o con tu tutor acerca del estudio y tú también deberías hablar con ellos acerca del estudio y hacer preguntas.



**Asentimiento:**

He leído esta información (o me han leído la información). Respondieron todas mis preguntas y sé que más adelante puedo hacer otras preguntas, si las tuviera.

Asentimiento del sujeto:

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma (si es posible) \_\_\_\_\_  
(O iniciales del niño/menor)

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Representante legal: (si corresponde)

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Madre (si corresponde)

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Padre (si corresponde)

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Testigo (solo si corresponde):

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Domicilio: \_\_\_\_\_ Teléfono: \_\_\_\_\_

Para uso del médico del estudio:

Certifico que le he explicado a este sujeto, así como también a los Padres y/o al Representante Legal, la naturaleza y las implicancias de este estudio de investigación. He respondido todas las preguntas y he alentado al sujeto y a los Padres/Representante Legal a que hagan otras preguntas en cualquier momento durante el transcurso del estudio.

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

Número de registro o timbre del médico: \_\_\_\_\_

Director del centro (o delegado, si corresponde)

Nombre y apellido: \_\_\_\_\_ Firma: \_\_\_\_\_

Fecha: \_\_\_\_\_ RUT: \_\_\_\_\_

El participante recibió una copia del consentimiento.



10-01-2018