

PROCOLO LOCAL ESTUDIO SAREPTA. 2020

Investigador responsable y equipo de investigación asociado al estudio

Investigador responsable:

Dr Ricardo Erazo Torricelli(Unidad Neurología Hospital Luis Calvo Mackenna)

Sub investigador:

Dr Patricio Lacaux Uribe(Unidad Neurología Hospital Luis Calvo Mackenna)

Coordinadora estudio:

Patricia Acuña(Enfermera externa al hospital Luis Calvo Mackenna)

Coordinadora Backup:

Constanza Ruiz Berger (Enfermera externa al hospital Luis Calvo Mackenna)

Kinesiólogos:

Pamela Figueroa (Hospital Luis Calvo Mackenna)

Rudy Clavero (Hospital Luis Calvo Mackenna)

- *Tamaño muestral o universo de pacientes que podrían ser reclutados*

3 a 4 pacientes con distrofia muscular Duchenne. Actualmente hay 3 pacientes en condiciones de ser incluidos ,pero tienen que pasar la prueba de 6 minutos, caminando 300 metros o más, agregando los que se puedan en los siguientes 6 meses después de iniciado el reclutamiento de pacientes.

- *Nombre de los responsables de las diferentes etapas del proyecto*

**El responsable en todas las etapas del proyecto es el investigador principal
Dr Ricardo Erazo Torricelli**

El estudio completo se realizará en la Unidad de Neurología del Hospital Luis Calvo Mackenna en dependencias habilitadas especialmente para este fin.(2 salas ubicadas en el primer piso de la unidad)

Responsable evaluaciones neurológicas y consentimiento informado:

Drs Ricardo Erazo y Patricio Lacaux

El médico que firme el consentimiento informado no será el neurólogo tratante.

Administración del fármaco:

EU Patricia Acuña y Constanza Ruiz

- Toma y traslado de muestras.

Toma de muestras EU Patricia Acuña y Constanza Ruiz.

Traslado de muestras a cargo del laboratorio SAREPTA

TODAS LAS MUESTRAS SERÁN ANALIZADAS EN LABORATORIO EXTERNO(USA)

Electrocardiograma:

Se harán ECGs a cada paciente en el estudio. Informe será efectuado por cardiólogo externo al hospital.

El laboratorio proveerá de un equipo de ECG.

Flujograma de las muestras.

Las muestras se enviarán a USA por courier pagado por laboratorio SAREPTA

- De los exámenes y procedimientos que se indican en el estudio, se debe mencionar cuales de ellos se realizarán en el HLCM o en otro centro

Todos los exámenes se procesarán fuera del hospital como ya se mencionó .

La administración del fármaco/placebo por vía intravenosa se efectuará en sala de exámenes y procedimientos de la Sub unidad neuromuscular de la unidad de neurología. No se aceptará la instalación de catéter central a los pacientes por la complejidad y riesgo que conlleva, todo esto por decisión del investigador principal. En caso de fuerza mayor se consultará con el CEC y el sponsor, considerando además que todo el financiamiento debe ser asumido por el sponsor en estos casos excepcionales, si ocurrieran.

- *Financiamiento*

A cargo del laboratorio SAREPTA

Se adjunta budget con los valores por visita

Hay que agregar overhead 10 % para el hospital y 10% para FUNDAR

Eso lo tramitará FUNDAR.

- Recurso humano requerido

2 enfermeras universitarias externas al hospital

2 neurólogos hospital Luis Calvo Mackenna

2 kinesiólogos hospital Luis Calvo Mackenna

No se solicitará sus servicios a cardiólogos del hospital por ECG u otro estudio

Carta de toma de conocimiento de proyecto por parte de las jefaturas de unidad donde se realizará el estudio

Se dispone de carta de toma de conocimiento de Unidad de Neurología

Se dispone de carta de toma de conocimiento de Unidad de Kinesioterapia

SE CONCLUYE QUE TODO EL ESTUDIO SE HARÁ EN LA UNIDAD DE NEUROLOGÍA Y UNIDAD DE KINESITERAPIA DEL HOSPITAL LUIS CALVO MACKENNA

NO SE PROCESARÁ NINGÚN EXAMEN EN EL LABORATORIO DEL HOSPITAL LUIS CALVO MACKENNA

PROCEDIMIENTOS COMO BIOPSIA MUSCULAR Y EXÁMENES DE ECG Y

ECOCARDIGRAFIA SE EFECTUARÁN EN CLINICA ALEMANA DE SANTIAGO.

Saluda atentamente



**Dr Ricardo Erazo Torricelli
Neurología Pediátrica
Investigador Principal
Estudio Sarepta 4045-4053**

Stgo, 1 de noviembre, 2020