

Operetta2



**Eine klinische Studie für
Kinder und Jugendliche mit
multipler Sklerose (MS)**

Inhaltsverzeichnis

Definition von MS	2
Kinder und Jugendliche bekommen auch MS!	2
Wie wird MS behandelt?	3
Was ist eine klinische Studie?	4
Was ist die Operetta2-Studie?	5
Was sind die Prüfpräparate und wie wirken sie?	6
Wie lange dauert die Operetta2-Studie?	12
Was sind meine Pflichten als Eltern/Betreuer während der Operetta2-Studie?	13
Welche Risiken sind mit der Teilnahme an Operetta2 verbunden und warum sollte ich teilnehmen?	14
Sind mit der Teilnahme an Operetta2 irgendwelche Kosten verbunden?	14
Ich bin interessiert, an wen wende ich mich?	15

Definition von MS

Multiple Sklerose (MS) ist eine unvorhersehbare, manchmal behindernde **Autoimmunerkrankung**, die das Nervensystem betrifft.

Bei Personen mit MS greift das körpereigene Immunsystem eine die Nerven umgebende und sie schützende Fettsubstanz, das sogenannte Myelin, an und schädigt sie. Infolgedessen sind Nervenimpulse (oder Botschaften), die zum und vom Gehirn wandern, unklar oder unterbrochen, wie ein ausgefranstes elektrisches Kabel, das nicht richtig funktioniert.

Autoimmun:
wenn das Immunsystem
eines Menschen den
eigenen Körper angreift und
Entzündungen verursacht

Kinder und Jugendliche bekommen auch MS!

- Die meisten Kinder und Jugendliche mit MS haben eine Art von MS, die als schubförmig *remittierende MS (RRMS)* bezeichnet wird.
- RRMS ist die häufigste Form der MS und ist für Zeiträume bekannt, in denen sich neue oder bestehende Symptome verschlimmern (Schub/Rezidiv), gefolgt von einer Erholungsphase, in der nur wenige oder keine Symptome auftreten (Remission).
- Während der RRMS-Schübe greift das Immunsystem die Nervenfasern an und verursacht Entzündungen (oder Schwellungen), die zu MS-Symptomen führen



Wie wird MS behandelt?

- Es gibt kein Heilmittel für MS. Das Ziel der aktuellen Behandlungen ist es, die Anzahl der Schübe (Rezidive) zu reduzieren und die Symptome unter Kontrolle zu halten.
- Einige Behandlungen können Kindern und Jugendlichen mit MS verschrieben werden, aber es sind mehr Optionen erforderlich, um Schübe besser zu kontrollieren und Kindern und Jugendlichen zu ermöglichen, an täglichen Aktivitäten teilzunehmen.
- Klinische Studien sind Teil des Prozesses, um Kinder und Jugendliche zu identifizieren und neue Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung zu stellen.

Häufige Symptome



Müdigkeit oder Schwächegefühl



Kribbelndes Gefühl



Schwindelgefühl



Schwierigkeiten beim Gehen oder mit dem Gleichgewichtssinn



Taubheitsgefühl



Denk- oder Gedächtnisprobleme



Grundlose Wut oder Traurigkeit



Verschwommenes Sehen

Was ist eine klinische Studie?

- Bevor ein neues Medikament an Kinder oder Jugendliche verabreicht werden kann, muss ein Team aus Ärzten und Forschern sicherstellen, dass das Medikament sicher ist und wirkt. Um dies sicherzustellen, führen sie „klinische Studien“ oder „Studien“ durch.
- Klinische Studien zu einem neuen Medikament (auch als „Prüfpräparat“ bezeichnet) werden in **drei Phasen** durchgeführt:



Phase I



Phase II



Phase III

In **Phase I** wird das Prüfpräparat gesunden erwachsenen Freiwilligen verabreicht, um sicherzustellen, dass es sicher ist.

In **Phase II** wird das Prüfpräparat Freiwilligen verabreicht, die die Erkrankung (z. B. MS) haben, für die das Prüfpräparat hergestellt wird.

In **Phase III** wird das Prüfpräparat sogar noch mehr Personen mit der Erkrankung in verschiedenen Ländern verabreicht, um zu erfahren, wie gut es bei der Behandlung wirkt, und es mit anderen Medikamenten für diese Erkrankung zu vergleichen.

Alle klinischen Studien müssen strenge Regeln befolgen, um die Sicherheit der Freiwilligen zu gewährleisten. Eine Gruppe von Experten stellt sicher, dass alle Regeln befolgt werden.

Was ist die Operetta2-Studie?

Operetta2 ist eine Phase-III-Studie, die in Ländern auf der ganzen Welt durchgeführt wird. Das Ziel dieser Studie ist der Vergleich der positiven oder negativen Wirkungen des Prüfpräparats Ocrelizumab gegenüber Fingolimod bei der Behandlung von RRMS bei Kindern und Jugendlichen.

Wer wird an der Studie teilnehmen?

- **233 Kinder und Jugendliche** mit RRMS aus der ganzen Welt
- 10–17 Jahre alt



Was sind die Prüfpräparate und wie wirken sie?

Ocrelizumab und Fingolimod sind Medikamente, welche die durch das Immunsystem verursachten Entzündungen vorübergehend reduzieren und die Häufigkeit von Schüben reduzieren sollen.

Prüfpräparate

Ocrelizumab



kann nur zur Behandlung von MS bei **Erwachsenen** verschrieben werden

Fingolimod



kann zur Behandlung von RRMS bei Kindern **ab 10 Jahren** verschrieben werden

Welche Studienbehandlung werde ich erhalten?

In dieser Studie erhältst du zwei Prüfpräparate:

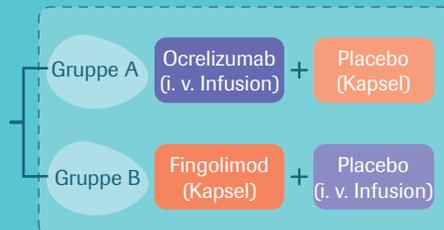
- Ein „echtes“ (Ocrelizumab oder Fingolimod)

UND

- ein „Schein“-Präparat, das zwar echt aussieht, aber keinen Wirkstoff enthält. Es wird als **Placebo** bezeichnet.

Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keinen Wirkstoff enthält.

Wenn der Prüfarzt bestätigt, dass du auf sichere Weise an der Studie teilnehmen kannst, wirst du einer von zwei Behandlungsgruppen (Gruppe A oder B) nach dem Zufallsprinzip zugewiesen (du wirst „randomisiert“).



Wie würde ich die Prüfpräparate verabreichen?

Unabhängig davon, in welcher Behandlungsgruppe (A oder B) du bist, erhältst du die Prüfpräparate auf zwei Arten:

- **Ocrelizumab (oder Placebo): Intravenöse (i. v.) Infusion** während eines Studienbesuchstermins in der Klinik etwa einmal alle 6 Monate
- **Fingolimod (oder Placebo): Kapseln** (wie Tabletten), die täglich zu Hause eingenommen werden

Unabhängig davon, in welcher Gruppe du bist, erhältst du eine wirkstoffhaltige Behandlung

Ocrelizumab oder Placebo (i. v. Infusion)



Erste Verabreichung

- **Verabreicht in zwei Teilen** (erste halbe Dosis an Tag 1 und zweite halbe Dosis 2 Wochen später)

Nachfolgende Verabreichungen

- Gesamte Dosis einmal alle **6 Monate**

Fingolimod oder Placebo (Kapseln)



Erste Verabreichung

- In der Klinik eingenommen (eine Kapsel)

Nachfolgende Verabreichungen

- **Täglich** zu Hause eingenommen (eine Kapsel)

**Intravenöse (i. v.)
Infusion:**
wenn ein Medikament
langsam in deinen Arm
verabreicht wird

Was passiert während der Operetta2-Studie?

Die Operetta2-Studie besteht aus vier Teilen:

Voruntersuchung um festzustellen, ob du sicher an der Studie teilnehmen kannst

Behandlungsteil 1 Du wirst in die Studie aufgenommen und einer von zwei Behandlungsgruppen (Gruppe A oder Gruppe B) zugewiesen und du erhältst Ocrelizumab oder Fingolimod.

Behandlungsteil 2 ist ein optionaler Teil der Operetta2-Studie, in dem du **nur Ocrelizumab erhältst**, wenn es für dich die beste Wahl ist

Nachbeobachtung dient dazu, deinen Gesundheitszustand nach Abschluss deiner Studienbehandlung zu überprüfen

Während Teil 1 der Behandlung werden weder du noch deine Eltern/Betreuer noch der Prüfarzt wissen, welcher Behandlungsgruppe du zugeteilt bist. Der Prüfarzt kann herausfinden, welcher Behandlungsgruppe du zugeteilt wurdest, wenn es Bedenken hinsichtlich deiner Sicherheit gibt.

Bevor du an der Studie teilnehmen kannst, werden du und deine Eltern/Betreuer gebeten, die **Patienteninformation und Einwilligungserklärung bzw. Zustimmungserklärung** zu lesen und zu unterschreiben. Dies sind wichtige Dokumente!

Verfahren zur Patienteninformation und Einwilligungserklärung

Die Patienteninformation und Einwilligungserklärung bzw. Zustimmungserklärung müssen unterzeichnet werden, bevor irgendwelche Studienverfahren durchgeführt werden.

Dieses Verfahren stellt sicher, dass:

- du und deine Eltern/Betreuer alle Informationen über die Teilnahme an der Studie verstehen
- du die Gelegenheit erhältst, Fragen zu stellen, bevor du deine Entscheidung über eine Teilnahme triffst

Die Teilnahme an einer klinischen Studie ist eine große Entscheidung für jede Familie und ist **deine Entscheidung**.

Bitte nimm dir so viel Zeit, wie du brauchst, um zu entscheiden, ob diese Studie für dich und deine Familie infrage kommt.

Du kannst entscheiden, deine Teilnahme an der Studie jederzeit und aus beliebigem Grund abzubrechen!

Voruntersuchung

Dieser Prozess beginnt, sobald die Patienteninformation und Einwilligungserklärung/Zustimmungserklärung unterzeichnet wurde, und kann bis zu **10 Wochen** dauern.

Der Prüfarzt wird überprüfen, ob die Studie für dich infrage kommt. Es werden einige Tests und Verfahren durchgeführt, um sicherzustellen, dass du an der Studie teilnehmen kannst, und um zu überprüfen, ob eine Teilnahme für dich sicher ist.

Hauptkriterien für die Teilnahme



Unterzeichnete Einwilligungs-/Zustimmungserklärungen



10–17 Jahre alt



Bestätigte Diagnose einer RRMS



In der Lage, eine MRT durchführen zu lassen

Untersuchungen und Verfahren



Krankengeschichte



Körperliche Untersuchung



Fragen zur Erkrankung



MRT-Scan des Gehirns



Augenuntersuchung



Untersuchung, wie gut dein Gehirn Informationen verarbeitet



Blutuntersuchungen



Urinuntersuchungen



Röntgenaufnahme des Handgelenks/der Hand (optional)

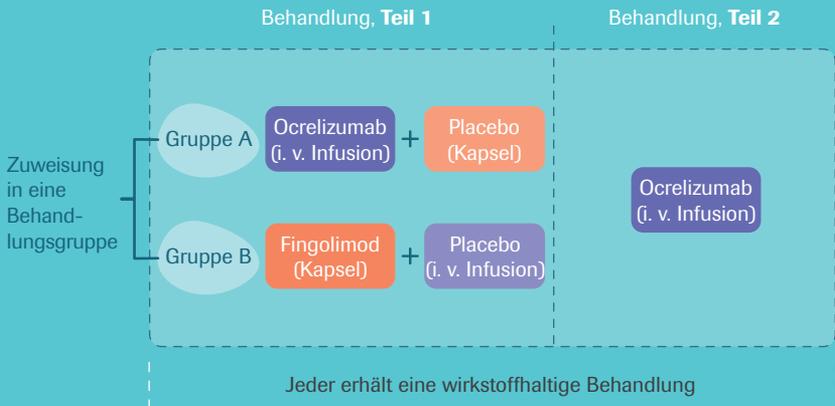
Behandlungsteil 1:

- Du wirst einer Behandlungsgruppe zugeteilt und erhältst entweder Ocrelizumab oder Fingolimod.
- Unabhängig davon, in welcher Gruppe du bist, nimmst du auch ein **Placebo** ein.
- Teil 1 der Studie dauert mindestens 2 Jahre, kann aber auch länger dauern.
- Am Ende von Teil 1 wird dir mitgeteilt, welches Prüfpräparat du erhalten hast.

Behandlungsteil 2:

- In diesem Teil der Studie erhältst du nur Ocrelizumab.
- Du kommst alle 6 Monate (zweimal im Jahr) in das Prüfzentrum, um eine Ocrelizumab-Infusion zu erhalten.
- Teil 2 der Studie dauert ~ 3 Jahre, kann aber auch länger dauern.

Behandlungsteil 2 ist optional.



Während der Behandlungsteile 1 und 2 musst du mindestens 6-mal pro Jahr in das Prüfzentrum kommen. Bei jedem Besuchstermin werden bei dir einige Untersuchungen und Verfahren durchgeführt, die denen ähneln, die während der Voruntersuchung bei dir durchgeführt wurden.

Erwartete Besuchstermine während der Behandlungsteile 1 und 2



Studienbesuchstermin

2 Wochen vor der i. v. Infusion (1–2 Stunden)



Studienbesuchstermin zur **i. v. Infusion** (3–7 Stunden)



Telefonanruf
1 Tag nach der i. v. Infusion und monatlich



Studienbesuchstermin alle 3 Monate (3–7 Stunden)

Nachbeobachtung

Wenn du während Behandlungsteil 1 oder 2 Ocrelizumab erhalten hast und du Ocrelizumab nicht mehr erhältst, wirst du weiterhin Besuchstermine wahrnehmen, um zu überprüfen, wie es dir geht.

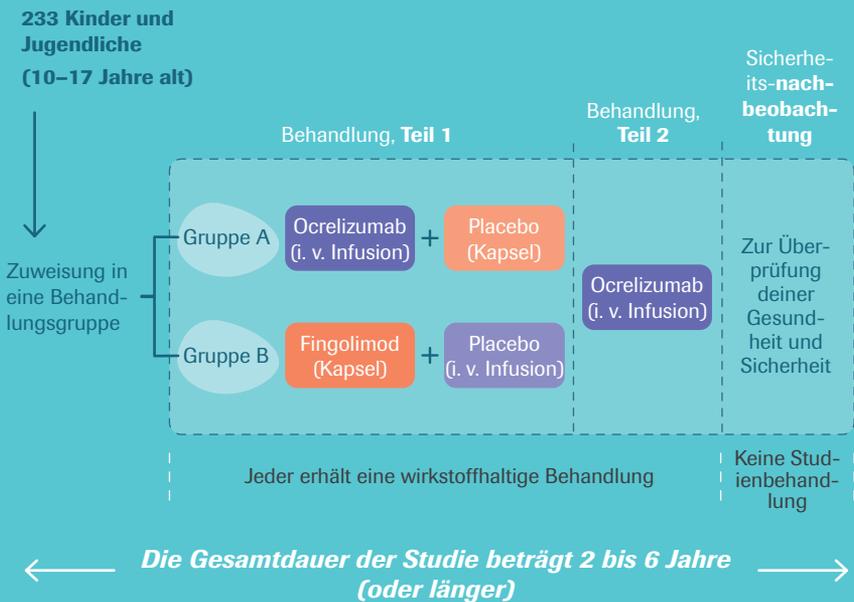
Die Nachbeobachtung wird bei dir ab deiner letzten Ocrelizumab-Infusion 1 Jahr dauern. Sie kann auch länger dauern, wenn dein Prüfarzt weiterhin überprüfen möchte, ob es dir gut geht.

Bei diesen Besuchsterminen werden ähnliche Untersuchungen wie in den Behandlungsteilen 1 und 2 durchgeführt. Dein Arzt wird mit dir über deine Behandlungsmöglichkeiten sprechen, nachdem du Ocrelizumab abgesetzt hast.



Wie lange dauert die Operetta2-Studie?

Du wirst **mindestens 2 Jahre lang** an der Studie teilnehmen, aber es kann länger dauern, wenn du dich für eine Teilnahme an Teil 2 entscheidest.



Was passiert, wenn ich während der Studie 18 Jahre alt werde?

Wenn du während der Teilnahme an der Operetta2-Studie 18 Jahre alt wirst, kannst du alle Teile der Studie abschließen.

Was sind meine Pflichten als Eltern/Betreuer während der Operetta2-Studie?

- Sofern Sie Ihre Einwilligung erteilt haben, werden Sie während dieser Studie gebeten, mit Ihrem Kind in Teil 1 und 2 etwa einmal alle 6 Monate in das Prüfzentrum zu kommen, um einige Fragebögen auszufüllen
- Sie sollten den Prüfarzt informieren, wenn es bei Ihrem Kind irgendwelche Veränderungen in seinem Gesundheitszustand, seiner Versorgung oder seinen Medikamenten gibt. Zum Beispiel:
 - Neue Symptome oder Symptome, die sich verschlimmern
 - Veränderungen bei den Medikamenten
 - Besuchstermine bei einem anderen Arzt oder Krankenhaus
- Stellen Sie sicher, dass Ihr Kind nicht an einer anderen klinischen Studie teilnimmt



Welche Risiken sind mit der Teilnahme an Operetta2 verbunden und warum sollte ich teilnehmen?

- Die Ärzte wissen nicht, ob es dir durch diese Studie besser gehen wird. Wenn du an der Studie teilnimmst, kann es sein, dass es dir besser, unverändert oder schlechter geht.

Du wirst während der gesamten Studie vom Prüfarzt sorgfältig auf Nebenwirkungen überwacht.

- Die Informationen aus dieser Studie werden Kindern und Jugendlichen mit MS in Zukunft helfen und werden auch medizinischen Fachkräften helfen, mehr über das Prüfpräparat und die Behandlung von RRMS bei Kindern und Jugendlichen (10–17 Jahre) zu erfahren.
- Die Teilnahme an dieser Studie kann mit Risiken oder Nebenwirkungen verbunden sein. Du und deine Eltern oder dein Betreuer werden über die Risiken und den Nutzen informiert, bevor du eine Entscheidung über die Teilnahme triffst.

Sind mit der Teilnahme an Operetta2 irgendwelche Kosten verbunden?

- Die Prüfpräparate werden dir während der Teilnahme an Operetta2 nicht in Rechnung gestellt.
- Zusätzlich sind alle Verfahren, die für die Teilnahme an der Studie notwendig und nicht Teil deiner regulären medizinischen Versorgung sind, kostenfrei.

Ich bin interessiert, an wen wende ich mich?

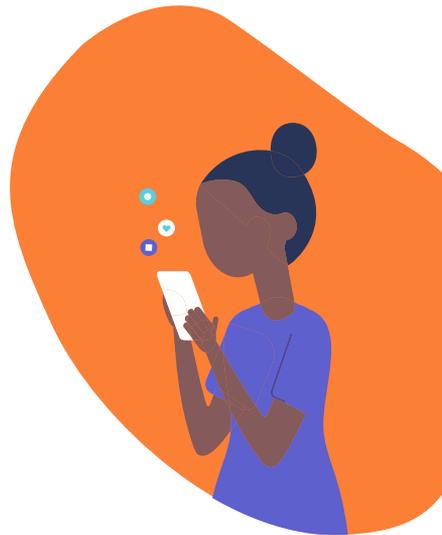
Wenn du daran interessiert bist, mehr zu erfahren, oder wenn du oder jemand, den du kennst, eine Teilnahme an der Operetta2-Studie in Betracht ziehen würde, wende dich bitte an das Studienteam.

Kontaktinformationen des Teams der Operetta2-Studie

Name:

Ort:

Telefonnummer:



Operetta²