

Operetta2



**Клинично изследователско
изпитване за деца и
тийнейджъри, живеещи с
множествена склероза (МС)**

Съдържание

Дефиниране на МС	2
Децата и тийнейджърите също получават МС!	2
Как се лекува МС?	3
Какво представлява изследователско изпитване?	4
Какво представлява изпитването Operetta2?	5
Какви са изпитваните лекарства и как действат?	6
Колко дълго продължава изпитването Operetta2?	12
Какви са моите задължения по време на изпитването Operetta2 като родител/болногледач?	13
Какви са рисковете, свързани с участието в Operetta2 и защо трябва да участвам?	14
Има ли разходи относно участието в Operetta2?	14
Интересувам се, с кого да се свържа?	15

Дефиниране на МС

Множествената склероза (МС) е непредсказуемо, понякога инвалидизиращо, **автоимунно** заболяване, което засяга нервната система.

Имунната система на организма при живеещи с МС хора атакува и уврежда мастна субстанция, която покрива и предпазва нервните, наречена миелин. В резултат на това нервните импулси (или съобщения), които се предават към и от мозъка, са неясни или прекъснати, като протрит електрически кабел, който не функционира правилно.

Автоимунно:
когато имунната система на някого атакува собственото му тяло, причинявайки възпаление

Децата и тийнейджърите също получават МС!

- Повечето деца и тийнейджъри, живеещи с МС, имат тип МС, наречен *прстъпно-ремитентна МС (RRMS)*
- RRMS е най-често срещаният тип МС и е известно, че има периоди, при които новите или съществуващите симптоми се влошават (рецидив), последвани от период на възстановяване, при които има малко или няма налични симптоми (ремисия)
- По време на рецидиви на RRMS имунната система атакува нервните влакна и причинява възпаление (или подуване), което води до симптоми на МС



Как се лекува МС?

- Няма лечение за МС. Целта на настоящите лечения е да се намали броят на рецидивите и да помогне за контролиране на симптомите
- Може да бъдат предписвани определени лечения на живеещи с МС деца и тийнейджъри, но са необходими повече възможности, за да се помогне за по-добър контрол на рецидивите и да се позволи на децата и тийнейджърите да участват пълноценно в ежедневните дейности
- Клиничните изследователски проучвания са част от процеса за установяване и предоставяне на нови възможности за лечение на деца и тийнейджъри

Чести симптоми



Усещане за умора или слабост



Изтръпване



Замаяност



Затруднено ходене или запазване на равновесие



Скованост



Проблеми с мисленето или паметта



Изпитване на гняв или тъга без причина



Замъглено зрение

Какво представлява изследователско изпитване?

- Преди да може едно ново лекарство да бъде предоставено на деца или тийнейджъри, екип от лекари и изследователи трябва да се уверят, че лекарството е безопасно и че действа. За тази цел, те провеждат „изследователски изпитвания“ или „изпитвания“
- Изследователските изпитвания на ново лекарство (известно също като „изпитвано лекарство“) се провеждат в **три фази**:



Фаза I



Фаза II



Фаза III

Във **Фаза I** изпитваното лекарство се дава на здрави възрастни доброволци, за да се гарантира, че е безопасно

Във **Фаза II** изпитваното лекарство се дава на доброволци, които имат състоянието (например МС), за което се разработва изпитваното лекарство

Във **Фаза III** изпитваното лекарство се дава на още повече хора в различни страни, които живеят със състоянието, за да се види колко добре действа за лечението му и да се сравни с други лекарства за това състояние

Всички изследователски изпитвания трябва да отговарят на строги правила за гарантиране безопасността на доброволците и група експерти осигурява спазването на всички правила.

Какво представлява изпитването Operetta2?

Operetta2 е изпитване от фаза III, проведено в страни по целия свят. Целта на това изпитване е да сравни желаните или нежеланите ефекти на изпитваното лекарство окрелизумаб спрямо финголимод за лечението на RRMS при деца и тийнейджъри.

Кой ще участва в изпитването?

- **233 деца и тийнейджъри** от цял свят, живеещи с RRMS
- На възраст 10-17 години



Какви са изпитваните лекарства и как действат?

Окрелизумаб и финголимод са лекарства, които намаляват временно възпалението, причинено от имунната система, и са предназначени да намалят честотата на рецидивите.

Изпитвани лекарства

Окрелизумаб

може да се предписва за лечение на МС **само при възрастни**



Финголимод

може да се предписва за лечение на RRMS при деца на възраст **10 или повече години**



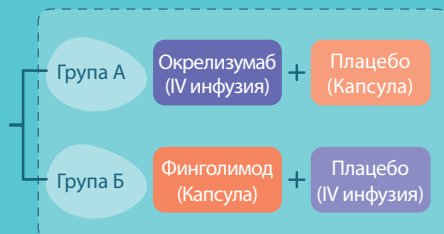
Какво изпитвано лечение ще получавам?

В това изпитване ще ти бъдат дадени две изпитвани лекарства:

- едно „истинско“ (окрелизумаб или финголимод),
- и
- едно „фалшиво“, което изглежда истинско, но няма активно лекарство, то се нарича **плацебо**

Плацебо
е маскирано
лекарство, което
не съдържа активна
съставка

Ако лекарят по изпитването потвърди, че можеш да участваш безопасно в изпитването, ще бъдеш разпределен/а в една от двете групи за лечение (група А или Б) „на случаен принцип“ или „произволно“.



Как ще приемам изпитваните лекарства?

Независимо в коя група на лечение (А или Б) си включен/а, ще ти бъде дадено изпитваното лекарство по два начина:

- **Окрелизумаб (или плацебо): IV инфузия** по време на визита по изпитването в клиниката приблизително веднъж на всеки 6 месеца
- **Финголимод (или плацебо): Капсули** (като хапчета), приемани ежедневно вкъщи

Независимо в коя група си разпределен/а, ще получаваш активно лечение

Окрелизумаб или плацебо (IV инфузия)



Първа доза

- **Давана в две части**
(¹ва половин доза в Ден 1 и ²ра половин доза 2 седмици по-късно)

Следващи дози

- Пълна доза, давана веднъж на всеки **6 месеца**

Финголимод или плацебо (капсули)



Първа доза

- Приема се през устата в клиниката (една капсула)

Следващи дози

- Приемат се вкъщи през устата **ежедневно** (една капсула)

**Интравенозна
(IV) инфузия:**
когато дадено
лекарство се прилага
бавно в ръката ти

Какво се случва по време на изпитването Operetta2?

Изпитването Operetta2 има четири части:

Скрининг

за да се види дали можеш да участваш безопасно в изпитването

Част 1 от лечението

ще бъдеш включен/а в изпитването и разпределен/а в една от двете терапевтични групи (група А или група Б) и ще получаваш окрелизумаб или финголимод

Част 2 от лечението

е незадължителна част от изпитването Operetta2, когато ще **ти бъде даден само окрелизумаб**, ако това е най-добрият избор за теб

Проследяване

се използва за проверка на здравословното ти състояние след завършване на твоето изпитвано лечение

Преди да можеш да участваш в изпитването, ти и твоите родители/болногледачи ще бъдете помолени да прочетете и подпишете **Формуляра за информирано съгласие (ФИС) и формуляра за съгласие**. Това са важни документи!

По време на Част 1 на лечението нито ти, нито твоят родител/болногледач, нито лекарят по изпитването ще знаете в коя терапевтична група си разпределен/а. Лекарят по изпитването може да разбере в коя терапевтична група си разпределен/а, ако има притеснения за твоята безопасност

Процес на предоставяне на информирано съгласие/съгласие

ФИС и Съгласието трябва да бъдат подписани преди провеждането на каквито и да било процедури по изпитването.

Този процес ще гарантира, че:

- Ти и твоите родители/болногледачи разбирате цялата информация за участието в изпитването
- Предоставена ти е възможност да зададеш въпроси, преди да вземеш решение дали да участваш

Участието в изследователско изпитване е голямо решение за всяко семейство и е по **твой избор**.

Моля, отдели цялото време, което ти е необходимо, за да решиш дали това изпитване е подходящо за теб и твоето семейство.

Можеш да решиш да прекратиш участието си в изпитването когато и да е и по каквато и да е причина!

Скрининг

Този процес започва след подписване на ФИС/Съгласие и може да продължи до **10 седмици**.

Лекарят по изпитването ще провери дали изпитването е подходящо за теб. Ще ти бъдат направени някои изследвания и процедури, за да е сигурно, че можеш да участваш в изпитването и за проверка дали е безопасно за теб.

Ключови критерии за участие



Подписани формуляри за ФИС/Съгласие



На възраст 10-17 години



Потвърдена диагноза за RRMS



Способност за извършване на ЯМР

Изследвания и процедури



Медицинска история



Физикален преглед



Въпроси за заболяването



ЯМР сканиране на мозъка



Очен преглед



Тест за това колко добре мозъкът ти обработва информация



Кръвни изследвания



Уринни изследвания

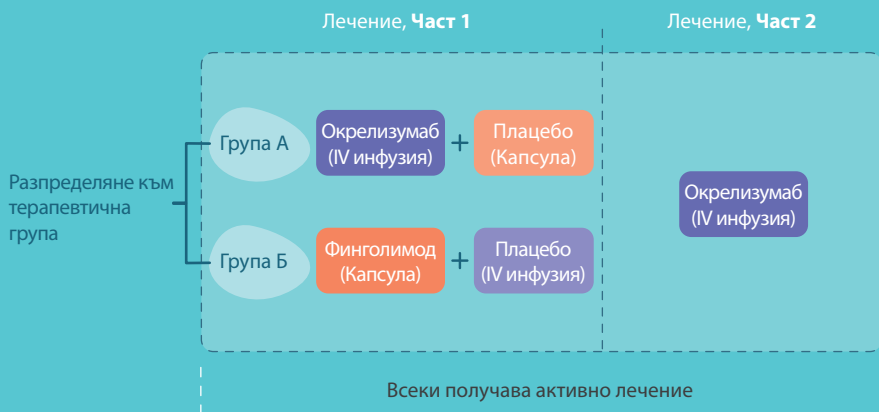


Рентгенография на китка/ръка (незадължителна)

Част 1 на лечението: Част 2 на лечението:

- Ще бъдеш разпределен/а в терапевтична група и ще получаваш окрелизумаб или финголимод
- Независимо в коя група си разпределен/а, ще приемаш и **плацебо**
- Част 1 от изпитването ще продължи най-малко 2 години, но може да е по-дълга
- В края на Част 1 ще ти кажат кое изпитвано лекарство си приемал/а
- В тази част от изпитването ще ти се дава само окрелизумаб
- На всеки 6 месеца (два пъти в годината) ще посещаваш клиниката по изпитването, за да получаваш инфузия с окрелизумаб
- Част 2 от изпитването ще продължи ~ 3 години, но може да е по-дълга

**Част 2 от лечението
не е задължителна**



По време на Части 1 и 2 от лечението ще трябва да посещаваш клиниката по изпитването поне 6 пъти всяка година. На всяка визита ще ти бъдат правени някои изследвания и процедури, подобни на тези, които си направил/а по време на скрининг.

Очаквани визити по време на Части 1 и 2 от лечението



Визита по изпитването 2 седмици преди интравенозна инфузия (1-2 часа)



Визита по изпитването за интравенозна инфузия (3-7 часа)



Телефонно обаждане 1 ден след интравенозна инфузия и ежемесечно



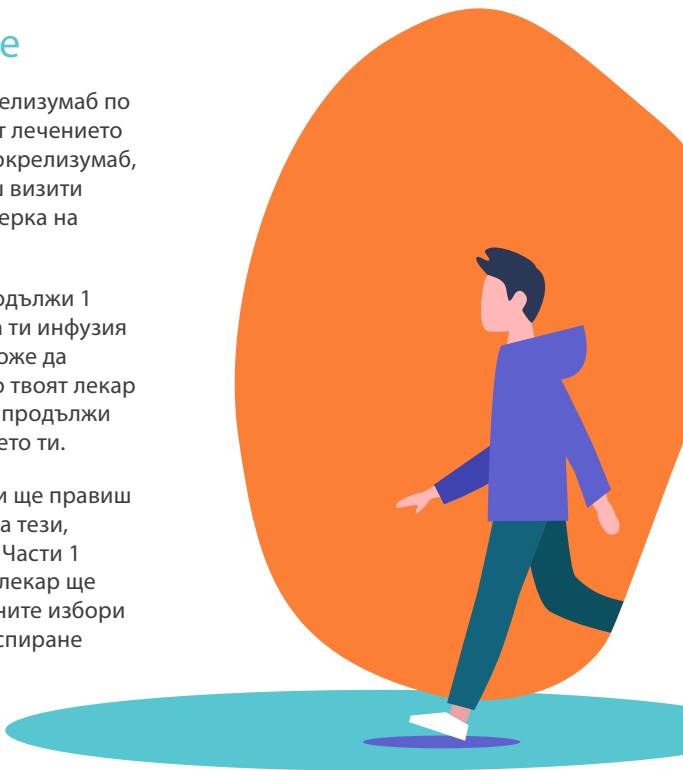
Визита по изпитването на всеки 3 месеца (3-7 часа)

Проследяване

Ако си получавал/а окрелизумаб по време на Част 1 или 2 от лечението и спреш да получаваш окрелизумаб, ще продължиш да имаш визити по изпитването за проверка на състоянието ти.

Проследяването ще продължи 1 година след последната ти инфузия на окрелизумаб. Това може да продължи по-дълго, ако твоят лекар по изпитването иска да продължи да проверява състоянието ти.

По време на тези визити ще правиш подобни изследвания на тези, направени по време на Части 1 и 2 от лечението. Твоят лекар ще говори с теб за възможните избори на лечение за теб след спиране на окрелизумаб.



Колко дълго продължава изпитването Operetta2?

Участието ти в изпитването ще продължи **най-малко 2 години**, но може да е по-дълго, ако решиш да участваш в Част 2.



Какво ще се случи, ако навърши 18 години по време на изпитването?

Ако навършиш 18 години, докато участваш в изпитването Operetta2, можеш да завършиш всички части на изпитването.

Какви са моите задължения по време на изпитването Operetta2 като родител/болногледач?

- По време на това изпитване, ако си предоставил/а съгласието си, ще те помолят да идваш в клиниката по изпитването с детето ти приблизително веднъж на всеки 6 месеца по време на Част 1 и Част 2, за да отговориш на някои въпросници
- Трябва да уведомиш лекаря по изпитването, ако твоето дете има промени в здравето, грижите или лекарствата. Като например:
 - Нови симптоми или симптоми, които се влошават
 - Промени в лекарства
 - Визити при друг лекар или в болница
- Уверете се, че Вашето дете не участва в друго изследователско изпитване



Какви са рисковете, свързани с участието в Operetta2 и защо трябва да участвам?

- Лекарите не знаят дали това изпитване ще подобри състоянието ти. Ако участваш в изпитването, състоянието ти може да се подобри, да остане същото или да се влоши
- Информацията от това изпитване ще помогне в бъдеще на живеещи с МС деца и тийнейджъри и ще помогне на медицинските специалисти да научат повече за изпитваното лекарство и за лечението на RRMS при деца и тийнейджъри (на възраст 10-17 години)
- Може да има рискове или странични ефекти, свързани с участието в това изпитване. Ти и твоите родители или твоят болногледач ще бъдете информирани за рисковете и ползите, преди да вземеш решение дали да участваш

Ще бъдеш наблюдаван/а внимателно по време на изпитването от лекаря по изпитването за всякакви странични ефекти

Има ли разходи относно участието в Operetta2?

- Няма да заплащаш за изпитваните лекарства, докато участваш в Operetta2
- Освен това, всички процедури, които са необходими за участие в изпитването и не са част от обичайните медицински грижи за теб, ще бъдат предоставени безплатно

Интересувам се, с кого да се свържа?

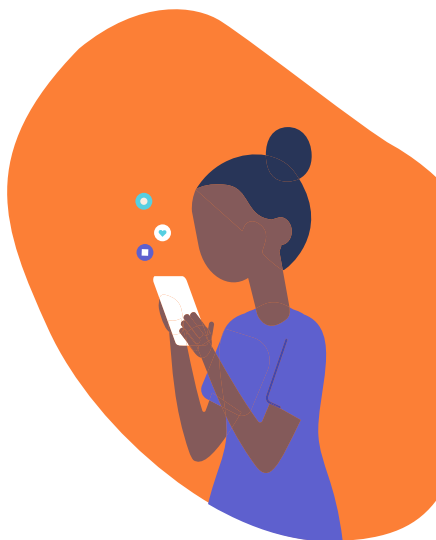
Ако си заинтересован/а да научиш повече или ако ти или някой, когото познаваш, може да прояви интерес да участва в изпитването Operetta2, моля, свържи се с персонала по изпитването.

Данни за контакт на персонала по изпитването Operetta2

Име:

Местоположение:

Телефонен номер:



Operetta²