

# Operetta2



## Estudio de investigación clínica para niños y adolescentes con esclerosis múltiple (EM)



# Índice

Definición de la EM	2
¡Los niños y adolescentes también tienen EM!	2
¿Cómo se trata la EM?	3
¿Qué es un estudio clínico?	4
¿Qué es el estudio Operetta2?	5
¿Cuáles son los fármacos del estudio y cómo funcionan?	6
¿Cuánto dura el estudio Operetta2?	12
Como padre/madre/cuidador, ¿cuáles son mis obligaciones durante el estudio Operetta2?	13
¿Cuáles son los riesgos asociados a la participación en Operetta2 y por qué debería participar?	14
¿Hay algún coste asociado a la participación en Operetta2?	14
Estoy interesado, ¿con quién me pongo en contacto?	15

# Definición de la EM

La esclerosis múltiple (EM) es una enfermedad **autoinmunitaria** impredecible, a veces incapacitante, que afecta al sistema nervioso.

En las personas con EM, el sistema inmunitario del organismo ataca y daña una sustancia grasa que rodea y protege los nervios, llamada mielina. Como resultado, los impulsos nerviosos (o mensajes) que viajan hacia y desde el cerebro no están claros o se interrumpen, como un cable eléctrico desgastado que no funciona correctamente.

**Enfermedad autoinmunitaria:**  
cuando el sistema inmunitario de una persona ataca a su propio organismo, lo que provoca inflamación.

## ¡Los niños y adolescentes también tienen EM!

- La mayoría de los niños y adolescentes con EM tienen un tipo de EM llamada *EM recidivante-remitente (EMRR)*.
- La EMRR es el tipo más frecuente de EM y se conoce durante periodos en los que los síntomas nuevos o existentes empeoran (recidiva) seguidos de un periodo de recuperación en el que hay pocos o ningún síntoma presente (remisión).
- Durante las recidivas de la EMRR, el sistema inmunitario ataca las fibras nerviosas y provoca inflamación (o hinchazón) que origina los síntomas de EM.



# ¿Cómo se trata la EM?

- No hay cura para la EM. El objetivo de los tratamientos actuales es reducir el número de recaídas y ayudar a mantener los síntomas bajo control.
- Algunos tratamientos se pueden recetar a niños y adolescentes con EM, pero se necesitan más opciones para ayudar a controlar mejor las recaídas y posibilitar que los niños y adolescentes participen plenamente en las actividades cotidianas.
- Los estudios clínicos son parte del proceso para identificar y poner nuevas opciones de tratamiento a disposición de niños y adolescentes.

## Síntomas frecuentes



Sensación de cansancio o debilidad



Sensación de hormigueo



Mareos



Dificultad para caminar o mantener el equilibrio



Entumecimiento



Problemas de pensamiento o memoria



Sensación de enfado o tristeza sin motivo



Visión borrosa

# ¿Qué es un estudio clínico?

- Antes de que un nuevo medicamento se pueda usar con niños o adolescentes, un equipo de médicos e investigadores han de asegurarse de que funciona y es seguro usarlo; para ello hacen “estudios de investigación” o “estudios”.
- Los estudios de investigación de un nuevo medicamento (también conocido como “fármaco del estudio”) se realizan en **tres fases**:



**Fase I**



**Fase II**



**Fase III**

En la **fase I**, el fármaco del estudio se administra a voluntarios adultos sanos para asegurarse de que es seguro

En la **fase II**, el fármaco del estudio se administra a voluntarios que tienen la afección (por ejemplo, EM) para la que se ha hecho el fármaco del estudio

En la **fase III**, el fármaco del estudio se administra a aún más personas en diferentes países que tienen la afección para ver si funciona bien para tratarla y para compararlo con otros medicamentos que se usan para esta afección

**Todos los estudios de investigación deben seguir reglas estrictas para velar por la seguridad de los voluntarios, y un grupo de expertos se asegura de que se sigan todas esas reglas.**

# ¿Qué es el estudio Operetta2?

**Operetta2** es un estudio en fase III realizado en países de todo el mundo. El objetivo de este estudio es comparar los efectos (buenos o malos) del fármaco del estudio, el ocrelizumab, frente al fingolimod en el tratamiento de la EMRR en niños y adolescentes.

## ¿Quién participará en el estudio?

- **233 niños y adolescentes** con EMRR de todo el mundo
- De 10 a 17 años de edad



# ¿Cuáles son los fármacos del estudio y cómo funcionan?

El ocrelizumab y el fingolimod son medicamentos que reducen temporalmente la inflamación causada por el sistema inmunitario y pretenden reducir la frecuencia de las recidivas.

## Fármacos del estudio

### Ocrelizumab

Solamente se puede recetar para el tratamiento de la EM en **adultos**



### Fingolimod

Se puede recetar para el tratamiento de la EMRR en niños de **10 años de edad o mayores**



## ¿Qué tratamiento del estudio recibiré?

En este estudio se te darán dos medicamentos del estudio:

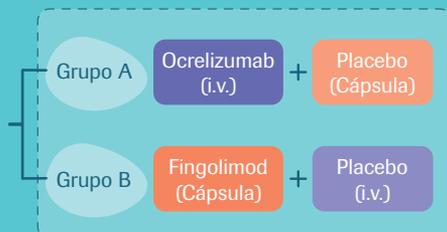
- uno “de verdad” (el ocrelizumab o el fingolimod),

**Y**

- uno “de mentira”, que parece real pero que no tiene un medicamento activo; esto se llama **placebo**

**Un placebo es un medicamento simulado que no contiene ningún principio activo**

Si el médico del estudio confirma que puedes participar de forma segura en el estudio, se te asignará a uno de los dos grupos de tratamiento (grupo A o B) “al azar” (dejándolo a la suerte).



## ¿Cómo debo tomar los fármacos del estudio?

Independientemente del grupo de tratamiento (A o B) en el que te encuentres, se te administrará el medicamento del estudio de dos maneras:

- **El ocrelizumab (o su placebo): mediante infusión** intravenosa (i.v.) durante una visita del estudio en la clínica, aproximadamente una vez cada 6 meses.
- **El fingolimod (o su placebo): en forma de cápsulas** (como pastillas) que tomarás diariamente en casa.

*Independientemente del grupo en el que te encuentres, recibirás tratamiento activo*

### Ocrelizumab o placebo (infusión i.v.)



#### Primera dosis

- **Administrada en dos partes** (1.ª mitad de la dosis el día 1 y 2.ª mitad de la dosis, 2 semanas después)

#### Dosis posteriores

- Dosis completa administrada una vez **cada 6 meses**

### Fingolimod o placebo (cápsulas)



#### Primera dosis

- Tomada por vía oral en la clínica (una cápsula)

#### Dosis posteriores

- Se toma en casa por vía oral **todos los días** (una cápsula)

**Infusión intravenosa (i.v.):**  
forma de administrar un medicamento lentamente a través de una vena del brazo

# ¿Qué sucede durante el estudio Operetta2?

El estudio Operetta2 consta de cuatro partes:

## Selección

Se comprueba si se cumplen las condiciones para que puedas participar de forma segura en el estudio

## Parte 1 de tratamiento

Se te inscribirá en el estudio y se te asignará a uno de los dos grupos de tratamiento (grupo A o grupo B) y recibirás ocrelizumab o fingolimod

## Parte 2 de tratamiento

Es una parte opcional del estudio Operetta2, en la que **solo se te administrará ocrelizumab** si es la mejor opción para ti

## Seguimiento

Se realiza para comprobar tu estado de salud una vez que hayas completado el tratamiento del estudio

Antes de que puedas participar en el estudio, te pediremos a ti y a tus padres/cuidadores que leáis y firméis el **formulario de consentimiento informado (FCI) y el formulario de asentimiento**. ¡Estos son documentos importantes!

## Formularios de consentimiento informado y de asentimiento

El formulario de consentimiento informado (FCI) y el asentimiento deben firmarse antes de que se realice cualquier procedimiento del estudio.

Este proceso garantizará que:

- Tú y tus padres/cuidadores entendéis toda la información sobre la participación en el estudio.
- Se os da la oportunidad de hacer preguntas antes de tomar una decisión sobre la participación.

Participar en un estudio es una decisión importante para cualquier familia y es **vuestra decisión**.

Podéis tomaros todo el tiempo que necesitéis para decidir si este estudio es adecuado para ti y tu familia.

*Durante la parte 1 de tratamiento, ni tú, ni tus padres o cuidadores, ni el médico del estudio sabrán a qué grupo de tratamiento se te ha asignado. El médico del estudio puede averiguar esto si existe preocupación por tu seguridad*

*Puedes decidir dejar de participar en el estudio en cualquier momento y por cualquier motivo*

## Selección

Este proceso comienza una vez firmado el FCI/asentimiento y puede durar hasta **10 semanas**.

El médico del estudio comprobará si el estudio es adecuado para ti. Se te realizarán algunas pruebas y procedimientos para asegurarnos de que puedes participar en el estudio y para comprobar si es seguro para ti.

### Crterios clave para participar



Formularios de asentimiento/FCI firmados



10-17 años de edad



Diagnóstico confirmado de EMRR



Ser capaz de someterse a una resonancia (RM)

### Pruebas y procedimientos



Historial médico



Exploración física



Preguntas sobre enfermedades



RM cerebral



Examen ocular



Prueba de cómo procesa tu cerebro la información



Análisis de sangre



Análisis de orina



Radiografía de muñeca/mano (opcional)

## Parte 1 del tratamiento:

- Se te asignará a un grupo de tratamiento y recibirás ocrelizumab o fingolimod.
- Independientemente del grupo en el que te encuentres, también tomarás un **placebo**.
- La parte 1 del estudio durará al menos 2 años, pero puede ser más larga.
- Al final de la parte 1, se te dirá qué fármaco del estudio has recibido.

## Parte 2 del tratamiento:

- En esta parte del estudio, se te administrará solamente ocrelizumab.
- Cada 6 meses (dos veces al año) acudirás a la clínica del estudio para recibir una infusión de ocrelizumab.
- La parte 2 del estudio durará ~3 años, pero puede ser más larga.

***La parte 2 del tratamiento es opcional***



**Durante las partes de tratamiento 1 y 2, tendrás que acudir a la clínica del estudio al menos 6 veces al año. En cada visita, se te realizarán algunas pruebas y procedimientos similares a los que se te hicieron durante la selección.**

## Visitas previstas durante las partes 1 y 2 del tratamiento



### Visita del estudio 2

semanas antes de la infusión i.v. (1-2 horas)



### Visita de infusión i.v.

del estudio (3-7 horas)



### Llamada telefónica

1 día después de la infusión i.v. y mensualmente



### Visita del estudio

cada 3 meses (3-7 horas)

## Seguimiento

Si has recibido ocrelizumab durante la parte 1 o 2 del tratamiento y dejas de recibir ocrelizumab, seguirás acudiendo a visitas del estudio para comprobar cómo te encuentras.

El seguimiento durará 1 año desde la última infusión de ocrelizumab. Puede ser más tiempo si tu médico del estudio desea continuar comprobando que estás bien.

Durante estas visitas, se te realizarán pruebas similares a las realizadas durante las partes 1 y 2 del tratamiento. Tu médico hablará contigo sobre tus opciones de tratamiento después de interrumpir el ocrelizumab.



# ¿Cuánto dura el estudio Operetta2?

Permanecerás en el estudio durante **al menos 2 años**, pero puede ser más tiempo si decides participar en la parte 2.

233 niños y adolescentes  
(10-17 años de edad)



← La duración total del estudio es de 2-6 años (o más) →

## ¿Qué sucede si cumpla 18 años de edad durante el estudio?

Si cumples 18 años mientras participas en el estudio Operetta2, puedes completar todas las partes del estudio.

# Como padre/madre/cuidador, ¿cuáles son mis obligaciones durante el estudio Operetta2?

- Durante este estudio, si otorgó su consentimiento, se le pedirá que acuda a la clínica del estudio con su hijo/a aproximadamente una vez cada 6 meses durante las partes 1 y 2, para completar algunos cuestionarios.
- Debe informar al médico del estudio si su hijo/a tiene algún cambio en su salud, atención médica o medicación. Por ejemplo:
  - Nuevos síntomas o síntomas que empeoran
  - Cambios en los medicamentos
  - Visitas a otro médico u hospital
- Debe asegurarse de que su hijo/a no participa en otro estudio de investigación.



## ¿Cuáles son los riesgos asociados a la participación en Operetta2 y por qué debería participar?

- Los médicos no saben si este estudio te hará mejorar. Si participas en el estudio, puede que mejores, que sigas igual o que empeores.

***El médico del estudio te supervisará atentamente durante todo el estudio para detectar cualquier efecto secundario***

- La información de este estudio ayudará a niños y adolescentes con EM en el futuro y ayudará a los profesionales médicos a aprender más sobre el fármaco del estudio y el tratamiento de la EMRR en niños y adolescentes (de 10 a 17 años de edad).
- Puede haber riesgos o efectos secundarios relacionados con la participación en este estudio. Os informaremos a ti y a tus padres o cuidadores de los riesgos y beneficios antes de que tomes una decisión sobre tu participación.

## ¿Hay algún coste asociado a la participación en Operetta2?

- No se le cobrarán los fármacos del estudio mientras participen en Operetta2.
- Además, todos los procedimientos que sean necesarios para participar en el estudio y no sean parte de la atención médica que recibe habitualmente se le proporcionarán sin cargo alguno.

# Estoy interesado, ¿con quién me pongo en contacto?

Si está interesado/a en saber más, o si usted o alguien que conoce pudiera querer considerar participar en el estudio Operetta2, póngase en contacto con el personal del estudio:

## Información de contacto del personal del estudio Operetta2

---

Nombre:

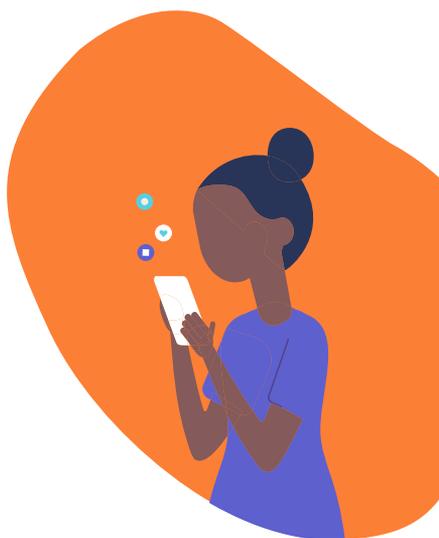
---

Domicilio:

---

Teléfono:

---







# Operetta<sup>2</sup>