

Operetta2



**Kliniczne badanie
naukowe z udziałem
dzieci i nastolatków
ze stwardnieniem
rozsianym (SM)**

Spis treści

Definicja SM	2
Dzieci i nastolatki też chorują na SM!	2
Jak leczy się SM?	3
Czym jest badanie naukowe?	4
Czym jest badanie Operetta2?	5
Jakie leki są stosowane w badaniu i jak działają?	6
Jak długo potrwa badanie Operetta2?	12
Jakie będą moje obowiązki jako rodzica/opiekuna w trakcie badania Operetta2?	13
Jakie zagrożenia są związane z udziałem w badaniu Operetta2 i dlaczego warto wziąć w nim udział?	14
Czy z udziałem w badaniu Operetta2 wiążą się jakieś koszty?	14
Jestem zainteresowany/zainteresowana – z kim mogę się skontaktować?	15

Definicja SM

Stwardnienie rozsiane (SM) to nieprzewidywalna, czasami powodująca niepełnosprawność **choroba autoimmunologiczna**, która wpływa na układ nerwowy.

U osób z SM układ odpornościowy organizmu atakuje i uszkadza substancję tłuszczową, która otacza i chroni nerwy, zwaną mieliną. W rezultacie impulsy (czyli sygnały) nerwowe przesyłane z i do mózgu są nieczytelne bądź przerywane, tak jak w przypadku postrzępionego przewodu elektrycznego, który nie działa prawidłowo.

Choroba autoimmunologiczna: polega na tym, że układ odpornościowy danej osoby atakuje własny organizm, powodując stan zapalny.

Dzieci i nastolatki też chorują na SM!

- U większości dzieci i nastolatków z SM występuje tak zwana *postać rzutowo-remisyjna SM (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)*.
- RRMS to najczęściej występująca postać SM, którą charakteryzują okresy występowania nowych objawów albo zaostrzeń wcześniej występujących objawów (rzuty), po których następuje okres powrotu do zdrowia, w którym występuje niewiele objawów albo objawy nie występują wcale (remisja).
- Podczas rzutów RRMS układ odpornościowy atakuje włókna nerwowe i powoduje stan zapalny (obrzęk), który wywołuje objawy SM.



Jak leczy się SM?

- Nie jest możliwe wyleczenie SM. Celem obecnie stosowanych metod leczenia jest zmniejszenie liczby rzutów i kontrolowanie objawów.
- Niektóre leki można przepisywać dzieciom i nastolatkom z SM, ale potrzebnych jest więcej możliwości leczenia w celu zapewnienia lepszej kontroli rzutów oraz umożliwienia dzieciom i nastolatkom brania pełnego udziału w codziennych czynnościach.
- Kliniczne badania naukowe są częścią procesu identyfikowania i udostępniania nowych możliwości leczenia dzieciom i nastolatkom.

Częste objawy



Uczucie zmęczenia lub osłabienia



Uczucie mrowienia i kłucia



Zawroty głowy



Trudności z chodzeniem lub utrzymywaniem równowagi



Drętwienie



Problemy z myśleniem lub pamięcią



Odczuwanie złości lub smutku bez powodu



Niewyraźne widzenie

Czym jest badanie naukowe?

- Zanim będzie można podawać nowy lek dzieciom i nastolatkom, zespół lekarzy i badaczy musi upewnić się, że lek ten jest bezpieczny i skuteczny. W tym celu przeprowadzają oni „badania naukowe”, inaczej „badania”.
- Badania naukowe dotyczące nowego leku (zwanego również „lekiem badanym”) przeprowadza się w **trzech fazach**:



Faza 1



Faza 2



Faza 3

W **fazie I** lek badany podaje się zdrowym dorosłym ochotnikom, aby upewnić się, że jest on bezpieczny.

W **fazie II** lek badany podaje się ochotnikom, u których występuje choroba (na przykład SM), do leczenia której przeznaczony jest lek badany.

W **fazie III** lek badany podaje się jeszcze większej liczbie osób mieszkających w różnych krajach, u których występuje dana choroba, aby sprawdzić jego skuteczność oraz porównać go z innymi lekami stosowanymi w leczeniu danej choroby.

Wszystkie badania naukowe muszą być prowadzone według rygorystycznych zasad, aby zapewnić bezpieczeństwo ochotników, a grupa ekspertów dba o przestrzeganie wszystkich zasad.

Czym jest badanie Operetta2?

Operetta2 to badanie fazy III prowadzone w różnych krajach na całym świecie. Celem tego badania jest ocena pozytywnego lub negatywnego wpływu leku badanego o nazwie okrelizumab w porównaniu z fingolimodem w leczeniu RRMS u dzieci i nastolatków.

Kto weźmie udział w badaniu?

- **233 dzieci i nastolatków** z RRMS z całego świata.
- Osoby w wieku 10–17 lat.



Jakie leki są stosowane w badaniu i jak działają?

Okrelizumab i fingolimod to leki, które powodują tymczasowe zmniejszenie nasilenia stanu zapalnego wywołanego przez układ odpornościowy, a ich zadaniem jest zmniejszenie częstotliwości rzutów.

Leki stosowane w badaniu

Okrelizumab

może być przepisywany w celu leczenia SM **wyłącznie u osób dorosłych**



Fingolimod

może być przepisywany w celu leczenia RRMS u dzieci w wieku **10 lat i starszych**



Jaki lek stosowany w badaniu będę przyjmować?

W tym badaniu będziesz przyjmować dwa leki stosowane w badaniu:

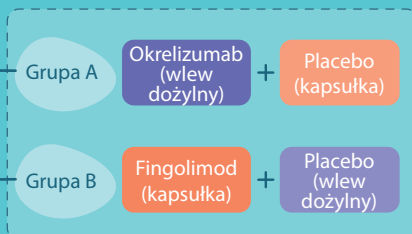
- jeden „prawdziwy” (okrelizumab albo fingolimod)

ORAZ

- jeden „pozorowany”, który wygląda jak prawdziwy lek, ale nie zawiera żadnej substancji czynnej – jest to tak zwane **placebo**.

Placebo to lek pozorowany, który nie zawiera żadnej substancji czynnej.

Jeżeli lekarz prowadzący badanie potwierdzi, że udział w badaniu będzie dla Ciebie bezpieczny, przydzielimy Cię do jednej z dwóch grup leczenia (Grupy A albo B) w sposób losowy, czyli przypadkowy.



W jaki sposób będę przyjmować leki stosowane w badaniu?

Niezależnie od tego, do której grupy leczenia (A czy B) będziesz należeć, będziesz przyjmować lek stosowany w badaniu na dwa sposoby:

- **okrelizumab (albo placebo): wlew dożylny** w trakcie wizyty w ramach badania w ośrodku co około sześć miesięcy;
- **fingolimod (albo placebo): kapsułki** (takie jak pigułki) przyjmowane codziennie w domu.

Niezależnie od tego, do której grupy będziesz należeć, będziesz przyjmować substancję czynną.

Okrelizumab albo placebo (wlew dożylny)



Pierwsza dawka

- **Podawana w dwóch częściach** (pierwsza połowa dawki w Dniu 1, a druga połowa dawki dwa tygodnie później)

Kolejne dawki

- Pełna dawka podawana co **sześć miesięcy**

Fingolimod albo placebo (kapsułki)



Pierwsza dawka

- Przyjmowana doustnie w ośrodku (jedna kapsułka)

Kolejne dawki

- Przyjmowane doustnie w domu **codziennie** (jedna kapsułka)

Wlew dożylny:
powolne podawanie leku w ramię

Co będzie się działo w trakcie badania Operetta2?

Badanie Operetta2 obejmuje cztery części:

Badania przesiewowe Ich celem jest sprawdzenie, czy udział w badaniu będzie dla Ciebie bezpieczny.

Część 1 leczenia Włączymy Cię do badania, przydzielimy Cię do jednej z dwóch grup leczenia (Grupy A albo Grupy B) i będziesz przyjmować okrelizumab albo fingolimod.

Część 2 leczenia Jest to nieobowiązkowa część badania Operetta2, w ramach której będziesz **przyjmować wyłącznie okrelizumab**, jeżeli będzie to najlepszy wybór w Twoim przypadku.

Obserwacja kontrolna Jej celem jest obserwacja Twojego stanu zdrowia po zakończeniu leczenia stosowanego w badaniu.

Zanim będziesz mógł/mogła wziąć udział w badaniu, poprosimy Ciebie i Twoich rodziców/opiekunów o przeczytanie i podpisanie **formularza świadomej zgody i formularza zgody**. Są to ważne dokumenty.

W trakcie Części 1 leczenia ani Ty, ani Twój rodzic/opiekun, ani lekarz prowadzący badanie nie będą wiedzieć, do której grupy leczenia Cię przydzielono. W przypadku obaw dotyczących Twojego bezpieczeństwa lekarz prowadzący badanie będzie mógł się dowiedzieć, do której grupy leczenia Cię przydzielono.

Proces pozyskiwania świadomej zgody/zgody

Zanim zostaną przeprowadzone jakiegokolwiek procedury w ramach badania, należy podpisać formularz świadomej zgody i formularz zgody.

Proces ten pozwoli zapewnić, że:

- Ty i Twoi rodzice/opiekunowie rozumiecie wszystkie informacje dotyczące udziału w badaniu;
- zapewniono Ci możliwość zadawania pytań przed podjęciem decyzji dotyczącej udziału w badaniu.

Udział w badaniu naukowym jest ważną decyzją dla każdej rodziny, a **decyzja ta należy do Ciebie**.

Nie spiesz się z podjęciem decyzji, czy udział w tym badaniu jest odpowiedni dla Ciebie i Twojej rodziny.

Możesz zdecydować się przerwać swój udział w badaniu w dowolnym momencie i z dowolnego powodu!

Badania przesiewowe

Ten proces rozpocznie się po podpisaniu formularza świadomej zgody i formularza zgody, i może on potrwać do **10 tygodni**.

Lekarz prowadzący badanie sprawdzi, czy badanie to jest dla Ciebie odpowiednie. Przeprowadzimy określone badania diagnostyczne i procedury, aby upewnić się, że możesz wziąć udział w badaniu oraz że udział w nim jest dla Ciebie bezpieczny.

Kluczowe kryteria udziału w badaniu



Podpisanie formularza świadomej zgody i formularza zgody



Wiek 10–17 lat



Potwierdzone rozpoznanie RRMS



Zdolność do poddawania się badaniom metodą rezonansu magnetycznego (RM)

Badania diagnostyczne i procedury



Zebranie wywiadu medycznego



Badanie fizykalne



Pytania dotyczące choroby



Badanie RM mózgu



Badanie oczu



Sprawdzenie, jak sprawnie Twój mózg przetwarza informacje



Badania krwi



Badania moczu



Badanie RTG nadgarstka/dłoni (nieobowiązkowe)

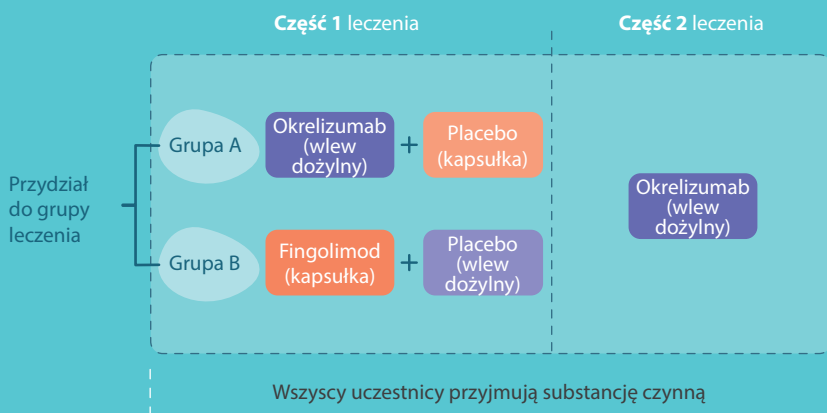
Część 1 leczenia:

- Przydzielimy Cię do grupy leczenia i będziesz przyjmować okrelizumab albo fingolimod.
- Niezależnie od tego, do której grupy będziesz należeć, będziesz również przyjmować **placebo**.
- Część 1 badania potrwa przynajmniej dwa lata, ale może też potrwać dłużej.
- Po zakończeniu Części 1 dowiesz się, który lek stosowany w badaniu przyjmowałeś/przyjmowałaś.

Część 2 leczenia:

- W tej części badania będziesz przyjmować wyłącznie okrelizumab.
- Będziesz przybywać do ośrodka badawczego co sześć miesięcy (dwa razy w roku), aby przyjąć wlew okrelizumabu.
- Część 2 badania potrwa około trzech lat, ale może też potrwać dłużej.

Część 2 leczenia jest nieobowiązkowa.



W trakcie Części 1 i 2 leczenia będzie trzeba przybyć do ośrodka badawczego przynajmniej sześć razy w każdym roku. Podczas każdej wizyty poddamy Cię pewnym badaniom diagnostycznym i procedurom podobnym do tych, które zostały przeprowadzone podczas badań przesiewowych.

Przewidywane wizyty w Części 1 i 2 leczenia



Wizyta w ramach badania na dwa tygodnie przed wlewem dożylnym (1–2 godziny)



Wizyta w ramach badania związana z podaniem **wlewu dożylnego** (3–7 godzin)



Rozmowa telefoniczna dzień po wlewie dożylnym i co miesiąc



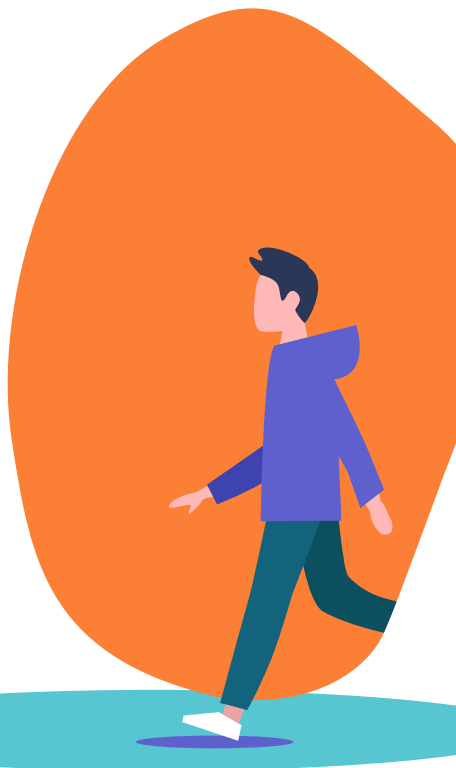
Wizyta w ramach badania co trzy miesiące (3–7 godzin)

Obserwacja kontrolna

Jeżeli w Części 1 albo 2 leczenia będziesz przyjmować okrelizumab i przestaniesz go przyjmować, będziesz nadal przybywać na wizyty w ramach badania, żebyśmy mogli sprawdzać, jak się czujesz.

Obserwacja kontrolna potrwa rok po przyjęciu przez Ciebie ostatniego wlewu okrelizumabu. Może ona potrwać dłużej, jeżeli lekarz prowadzący badanie będzie chciał nadal sprawdzać, czy dobrze się czujesz.

Podczas tych wizyt będziemy przeprowadzać badania diagnostyczne podobne do badań przeprowadzanych podczas Części 1 i 2 leczenia. Lekarz omówi z Tobą możliwości leczenia po przerwaniu przyjmowania okrelizumabu.



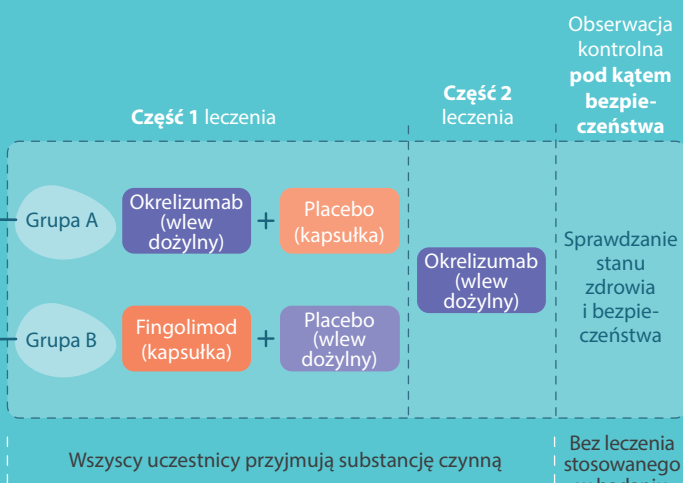
Jak długo potrwa badanie Operetta2?

Twój udział w badaniu potrwa **przynajmniej dwa lata**, ale może on potrwać dłużej, jeżeli zdecydujesz się wziąć udział w Części 2.

233 dzieci i nastolatków (w wieku 10–17 lat)



Przydział do grupy leczenia



← Całkowity czas trwania badania to 2–6 lat (albo dłużej) →

Co się stanie, jeżeli ukończę 18 lat w trakcie badania?

Jeżeli ukończysz 18 lat w trakcie badania Operetta2, będziesz mógł/mogła ukończyć wszystkie części badania.

Jakie będą moje obowiązki jako rodzica/opiekuna w trakcie badania Operetta2?

- Jeżeli wyrazi Pan/Pani zgodę, w trakcie tego badania poprosimy Pana/Panią o przybywanie wraz z dzieckiem do ośrodka badawczego co około sześć miesięcy w trakcie Części 1 i 2 w celu wypełnienia szeregu kwestionariuszy.
- Należy poinformować lekarza prowadzącego badanie, jeżeli u Pana/Pani dziecka wystąpią jakiegokolwiek zmiany stanu zdrowia, zmiany w zakresie opieki lub przyjmowanych leków. Mogą być to:
 - nowe objawy lub zaostrzenie objawów;
 - zmiany w przyjmowanych lekach;
 - wizyty u innego lekarza lub w szpitalu.
- Należy dopilnować, aby Pana/Pani dziecko nie brało udziału w żadnym innym badaniu naukowym.



Jakie zagrożenia są związane z udziałem w badaniu Operetta2 i dlaczego warto wziąć w nim udział?

- Lekarze nie wiedzą, czy to badanie sprawi, że poczujesz się lepiej. Jeżeli weźmiesz udział w tym badaniu, Twój stan zdrowia może się poprawić, pogorszyć albo pozostać bez zmian.

Przez cały czas trwania badania lekarz prowadzący badanie będzie uważnie monitorować Cię pod kątem wszelkich skutków ubocznych.

- Informacje uzyskane w ramach tego badania pomogą dzieciom i nastolatkom z SM w przyszłości i pozwolą pracownikom służby zdrowia dowiedzieć się więcej na temat leku badanego oraz leczenia RRMS u dzieci i nastolatków (w wieku 10–17 lat).
- Udział w tym badaniu może się wiązać z zagrożeniami albo skutkami ubocznymi. Zanim podejmiesz decyzję dotyczącą udziału w tym badaniu, poinformujemy Ciebie i Twoich rodziców bądź opiekuna o zagrożeniach i korzyściach.

Czy z udziałem w badaniu Operetta2 wiążą się jakieś koszty?

- Podczas udziału w badaniu Operetta2 nie będziesz ponosić kosztów leków stosowanych w badaniu.
- Ponadto wszelkie procedury niezbędne do udziału w badaniu, które wykraczają poza rutynową opiekę medyczną, zostaną wykonane nieodpłatnie.

Jestem zainteresowany/ zainteresowana – z kim mogę się skontaktować?

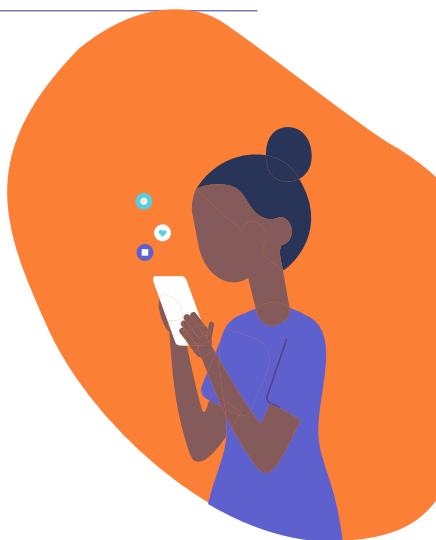
Jeżeli chcesz dowiedzieć się więcej albo znasz kogoś, kto chciałby rozważyć udział w badaniu Operetta2, skontaktuj się z zespołem prowadzącym badanie.

Dane kontaktowe zespołu prowadzącego badanie Operetta2

Imię i nazwisko:

Lokalizacja:

Numer telefonu:



Operetta²