

Operetta2



**Клінічне наукове
дослідження для
дітей та підлітків,
які страждають на
розсіяний склероз (РС)**

Зміст

Визначення РС	2
Діти та підлітки також хворіють на РС!	2
Як лікується РС?	3
Що таке наукове дослідження?	4
Що являє собою дослідження Operetta2?	5
Що таке досліджувані препарати і як вони діють?	6
Скільки триватиме дослідження Operetta2?	12
В якості одного з батьків/особи, яка здійснює догляд, які мої зобов'язання під час дослідження Operetta2?	13
Які ризики пов'язані з участю у дослідженні Operetta2 і чому мені слід брати участь?	14
Чи існують будь-які витрати, пов'язані з участю у дослідженні Operetta2?	14
Мені цікаво, до кого я можу звернутися?	15

Визначення РС

Розсіяний склероз (РС) — це непередбачуване, **автоімунне** захворювання, що вражає нервову систему та іноді призводить до втрати дієздатності.

У людей з РС імунна система організму атакує та пошкоджує мієлін — жирову речовину, яка оточує та захищає нерви. В результаті нервові імпульси (або повідомлення), які переміщуються до головного мозку та від нього, нечіткі або перервані, як потертий електричний шнур, який не працює належним чином.

Автоімунний:
коли чиясь імунна система атакує його власне тіло, що викликає запалення

Діти та підлітки також хворіють на РС!

- Більшість дітей і підлітків, які живуть із РС, мають тип РС, який називається *рецидивно-ремітуючим РС (PPPC)*
- PPPC є найбільш поширеним типом РС і відомий для періодів, коли нові або існуючі симптоми погіршуються (рецидив) з подальшим періодом відновлення, коли спостерігаються незначні або відсутні симптоми (ремісія)
- Під час рецидивів PPPC імунна система атакує нервові волокна та викликає запалення (або набряк), що призводить до симптомів РС



Як лікується РС?

- Вилікувати РС неможливо. Метою сучасних методів лікування є зменшення кількості рецидивів та допомогти контролювати симптоми
- Деякі методи лікування можуть призначатися дітям і підліткам, які страждають на РС, але для кращого контролю рецидивів та надання їм можливості повноцінно брати участь у повсякденній діяльності необхідно більше варіантів лікування
- Клінічні наукові дослідження є частиною процесу виявлення та створення нових варіантів лікування для дітей і підлітків

Часті симптоми



відчуття втоми
або слабкості



відчуття
поколювання



запаморочення



труднощі під
час ходьби або
балансування



оніміння



проблеми з
мисленням або
пам'яттю



відчуття злості
або смутку без
причини



нечіткість зору

Що таке наукове дослідження?

- Перед тим, як новий лікарський засіб можна буде призначати дітям або підліткам, група лікарів і дослідників повинні переконатися, що цей лікарський засіб є безпечним і дієвим. Щоб у цьому переконатися, вони проводять «наукові дослідження» або «дослідження».
- Наукові дослідження нового лікарського препарату (також відомого як «досліджуваний препарат») проводяться у **три фази**:



Фаза I



Фаза II



Фаза III

У **фазі I** досліджуваний препарат призначають здоровим дорослим добровольцям, щоб переконатися, що він безпечний

У **фазі II** досліджуваний препарат призначають добровольцям, які мають захворювання (наприклад, РС), для якого створено досліджуваний препарат

У **фазі III** досліджуваний препарат призначають ще більшій кількості людей у різних країнах, які живуть із цим захворюванням, щоб дізнатися, наскільки добре він працює для лікування захворювання, і порівняти його з іншими лікарськими засобами для лікування цього захворювання

Усі наукові дослідження повинні відповідати суворим правилам для забезпечення безпеки добровольців, а група експертів переконається, що дотримано всіх правил.

Що являє собою дослідження Operetta2?

Operetta2 — це дослідження фази III, яке проводиться в різних країнах світу. Метою цього дослідження є порівняння ефектів, позитивних або негативних, досліджуваного препарату окрелізумабу (ocrelizumab) та фінголімоду (fingolimod) при лікуванні РППС у дітей та підлітків.

Хто братиме участь у дослідженні?

- **233 дітей і підлітків** з усього світу, які живуть з РППС
- Вік 10-17 років



Що таке досліджувані препарати і як вони діють?

Окрелізумаб і фінголімод — це лікарські засоби, які тимчасово знижують запалення, викликане імунною системою, і призначені для зменшення частоти рецидивів.

Досліджувані препарати

Окрелізумаб

можна призначати для лікування РС лише у дорослих



Фінголімод

можна призначати для лікування PPPC у дітей віком від 10 років



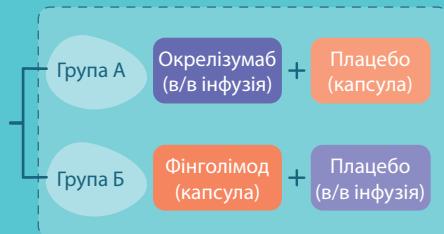
Яке досліджуване лікування я отримуватиму?

У цьому дослідженні Вам видадуть два досліджувані лікарські засоби:

- один «справжній» (окрелізумаб або фінголімод), **ТА**
- один «підробний», який виглядає реально, але не містить активної лікарської речовини, це називається **плацебо**

Плацебо — це імітація лікарського засобу, що не містить діючої речовини

Якщо лікар-дослідник підтвердить, що Ви можете безпечно брати участь у дослідженні, Вас розподілять в одну з двох груп лікування (група А або група Б) «випадково» або «випадковим чином».



Як я прийматиму досліджувані препарати?

Незалежно від того, в якій групі лікування (А або Б) Ви є, Ви будете отримувати досліджуваний лікарський засіб двома способами:

- **Окрелізумаб (або плацебо): в/в інфузія** під час візиту дослідження у клініці приблизно один раз на 6 місяців
- **Фінголімод (або плацебо): Капсули** (такі як таблетки) для щоденного прийому вдома

Незалежно від того, в якій групі лікування Ви є, Ви будете отримувати активне лікування

Окрелізумаб або плацебо (в/в інфузія)



Перша доза

- **Видається у двох частинах** (1-ша половина дози у день 1 і 2-га половина доза через 2 тижні)

Наступні дози

- Повна доза вводиться один кожні **6 місяців**

Фінголімод або плацебо (капсули)



Перша доза

- Приймати перорально в клініці (одна капсула)

Наступні дози

- Приймати вдома перорально **щодня** (одна капсула)

**Внутрішньовенна
(в/в) інфузія:**
коли лікарський засіб
повільно вводиться
у Вашу руку

Що відбуватиметься у ході дослідження Operetta2?

Дослідження Operetta2 складається з чотирьох частин:

Скринінг щоб визначити, чи можете Ви безпечно брати участь у дослідженні

Частина 1 лікування Вас включать у дослідження та розподілять в одну з двох груп лікування (група А або група Б) і Ви отримуватимете окрелізумаб або фінголімод

Частина 2 лікування Це необов'язкова частина дослідження Operetta2, в якій Ви **отримуватимете лише окрелізумаб**, якщо це найкращий для Вас варіант

Подальше спостереження Використовується для перевірки стану Вашого здоров'я після завершення досліджуваного лікування

Перш ніж Ви зможете взяти участь у дослідженні, Вас і Ваших батьків/осіб, які здійснюють догляд, попросять прочитати і підписати **форму інформованої згоди (ФІЗ) і форму згоди неповнолітнього**. Це важливі документи!

Процес надання інформованої згоди/згоди неповнолітнього

ФІЗ і форма згоди неповнолітнього учасника повинні бути підписані до проведення будь-яких процедур дослідження.

Цей процес гарантуватиме, що:

- Ви та Ваші батьки/особи, які здійснюють догляд, розумієте всю інформацію про участь у дослідженні
- Перед тим, як Ви приймете рішення щодо участі, Вам буде надана можливість поставити запитання

Участь у науковому дослідженні є великим рішенням для будь-якої родини і є **Вашим вибором**.

Будь ласка, не поспішаючи, обміркуйте, чи підходить Вам і Вашій родині це дослідження.

Під час частини 1 лікування ні Ви, ні Ваші батьки/особа, яка здійснює догляд, ні лікар-дослідник не знатимете, до якої групи лікування Вас включено.

Лікар-дослідник може з'ясувати, в яку групу лікування Ви потрапили, якщо виникнуть сумніви щодо Вашої безпеки

Ви можете вирішити припинити участь у дослідженні в будь-який час і з будь-якої причини!

Скринінг

Цей процес починається після підписання ФІЗ/згоди неповнолітнього та може тривати до **10 тижнів**.

Лікар-дослідник перевірить, чи підходить Вам це дослідження. Вам проведуть деякі аналізи та процедури, щоб переконатися, що Ви можете брати участь у дослідженні, а також щоб перевірити, чи безпечно для Вас це робити.

Ключові критерії для участі



Підписані ФІЗ/форми згоди неповнолітнього



Вік 10-17 років



Підтверджений діагноз РРРС



Можливість проведення МРТ

Аналізи та процедури



Історія хвороби



Медичне обстеження



Запитання про захворювання



МРТ головного мозку



Обстеження очей



Перевірка того, наскільки добре Ваш головний мозок обробляє інформацію



Аналізи крові



Аналізи сечі

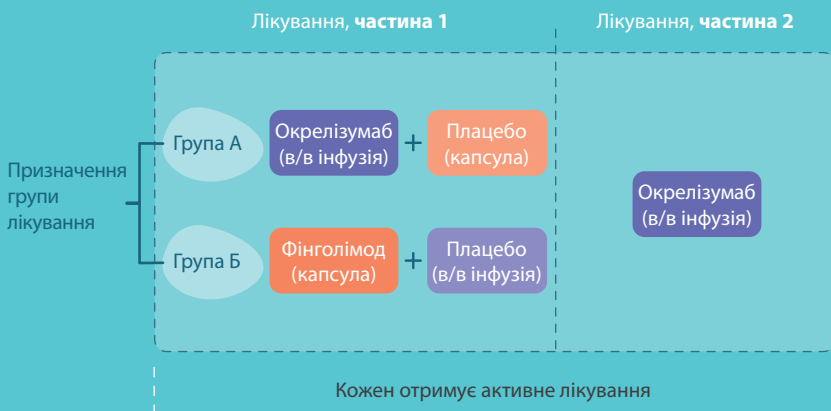


Рентгенографія зап'ястків/рук (необов'язково)

Частина 1 лікування: Частина 2 лікування:

- Вас розподілять у групу лікування та призначають або окрелізумаб, або фінголімод
 - Незалежно від того, в якій групі лікування Ви будете, Ви також прийматимете **плацебо**
 - Частина 1 дослідження триватиме не менше 2 років, але може бути довшою
 - Наприкінці частини 1 Вам скажуть, який досліджуваний препарат Ви отримували
- У цій частині дослідження Ви будете отримувати лише окрелізумаб.
 - Кожні 6 місяців (двічі на рік) Ви відвідуватимете дослідницьку клініку для отримання інфузії окрелізумабу
 - Частина 2 дослідження триватиме близько 3 років, але може бути довшою

Частина 2 лікування є необов'язковою



Під час частин 1 і 2 лікування Вам потрібно буде відвідувати дослідницьку клініку щонайменше 6 разів на рік. Під час кожного візиту Ви будете проходити деякі аналізи та процедури, подібні до тих, які Ви робили під час скринінгу.

Очікувані візити під час частин 1 і 2 лікування



Візит дослідження
за 2 тижні до
в/в інфузії
(1-2 години)



Візит дослідження
проведення
в/в інфузії
(3-7 годин)



Телефонний дзвінок через
1 день після
в/в інфузії
та щомісяця



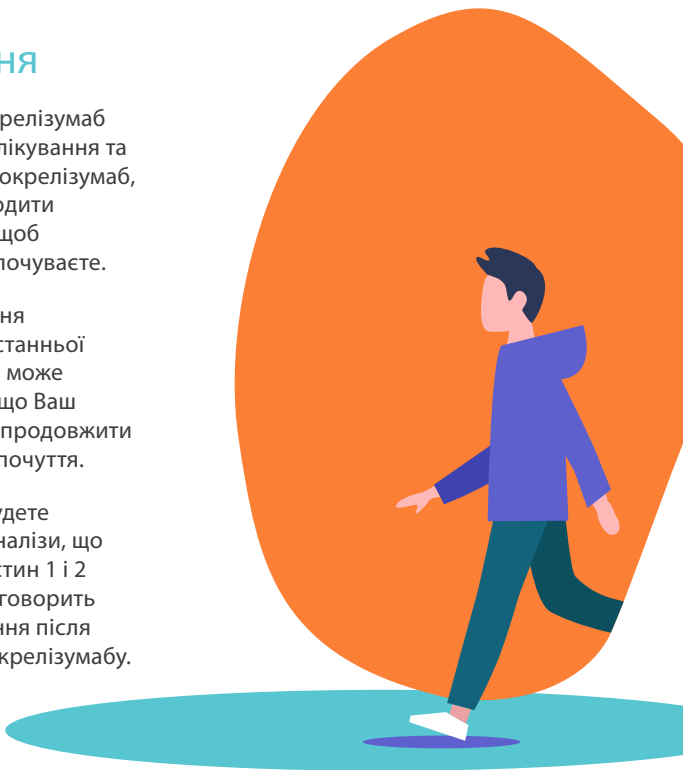
Візити дослідження
кожні 3 місяці
(3-7 годин)

Подальше спостереження

Якщо Ви отримували окрелізумаб під час частини 1 або 2 лікування та припините отримувати окрелізумаб, Ви і надалі будете приходити на візити дослідження, щоб перевірити, як Ви себе почуваєте.

Подальше спостереження триватиме 1 рік після останньої інфузії окрелізумабу. Це може зайняти більше часу, якщо Ваш лікар-дослідник захоче продовжити перевірку Вашого самопочуття.

Під час цих візитів Ви будете проходити аналогічні аналізи, що проводяться під час частин 1 і 2 лікування. Ваш лікар обговорить із Вами варіанти лікування після припинення прийому окрелізумабу.



Скільки триватиме дослідження Operetta2?

Ваша участь у дослідженні триватиме **не менше 2 років**, але вона може тривати довше, якщо Ви вирішите взяти участь у частині 2.

233 дітей і підлітків (10-17 років)



Що станеться, якщо під час дослідження мені виповниться 18 років?

Якщо під час участі в дослідженні Operetta2 Вам виповниться 18 років, Ви можете завершити всі частини дослідження.

В якості одного з батьків/особи, яка здійснює догляд, які мої зобов'язання під час дослідження Operetta2?

- Якщо під час цього дослідження Ви дасте свою згоду, Вас попросять приходити в дослідницьку клініку з Вашою дитиною приблизно один раз на 6 місяців під час Частин 1 і 2, щоб заповнити деякі опитувальники
- Ви повинні повідомити лікаря-дослідника, якщо у Вашої дитини виникнуть будь-які зміни у стані здоров'я, догляді або у застосуванні лікарських засобів. Наприклад:
 - Нові симптоми або симптоми, які погіршуються
 - Зміни в застосуванні лікарських засобів
 - Візити до іншого лікаря або в лікарню
- Переконайтеся, що Ваша дитина не бере участі в жодному іншому науковому дослідженні



Які ризики пов'язані з участю у дослідженні Operetta2 і чому мені слід брати участь?

- Лікарі не знають, чи допоможе Вам це дослідження. Якщо Ви візьмете участь у дослідженні, Ваш стан може покращитися, або може залишитися без змін або погіршитися
- Інформація, отримана в цьому дослідженні, допоможе дітям і підліткам із РС у майбутньому та допоможе медичним працівникам дізнатися більше про досліджуваний препарат і лікування PPPC у дітей і підлітків (10-17 років)
- Участь у цьому дослідженні може бути пов'язана з певними ризиками або побічними ефектами. Перш ніж Ви приймете рішення про участь у дослідженні, Вам і Вашим батькам або особі, яка здійснює догляд, повідомлять про ризики та переваги.

Лікар-дослідник ретельно спостерігатиме за Вами протягом усього дослідження, щоб виявити будь-які побічні ефекти

Чи існують будь-які витрати, пов'язані з участю у дослідженні Operetta2?

- Вам не потрібно буде платити за досліджувані препарати під час участі в дослідженні Operetta2
- Крім того, усі процедури, необхідні для участі в дослідженні, які не є частиною Вашого звичайного медичного обслуговування, проводяться безкоштовно

Мені цікаво, до кого я можу звернутися?

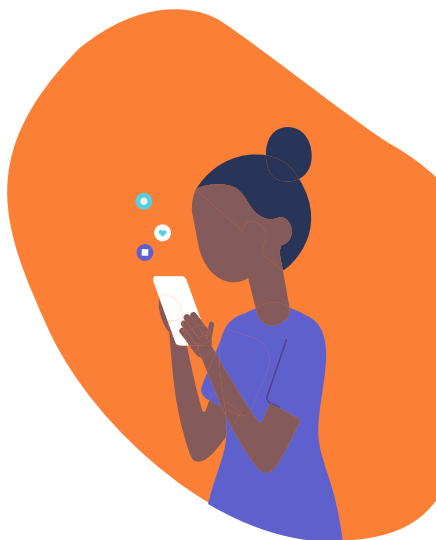
Якщо Ви зацікавлені в отриманні додаткової інформації, або якщо Ви чи хтось із Ваших знайомих захоче стати учасником у дослідженні Operetta2, будь ласка, зв'яжіться зі співробітниками дослідницької групи.

Контактна інформація співробітників дослідницької групи дослідження Operetta2

Назва:

Місце проведення:

Номер телефону:



Примітки

Operetta²