

Operetta2



**Estudo clínico para crianças
e adolescentes com
esclerose múltipla (EM)**

Índice

Definição de EM	2
Crianças e adolescentes também têm EM!	2
Como a EM é tratada?	3
O que é um estudo clínico?	4
O que é o estudo Operetta2?	5
Quais são os medicamentos do estudo e como eles funcionam?	6
Quanto tempo dura o estudo Operetta2?	12
Como pai/mãe/cuidador, quais são as minhas obrigações durante o estudo Operetta2?	13
Quais são os riscos associados à participação no Operetta2 e por que devo participar?	14
Há algum custo associado à participação no Operetta2?	14
Estou interessado. Com quem devo entrar em contato?	15

Definição de EM

A esclerose múltipla (EM) é uma doença **autoimune** imprevisível, às vezes incapacitante, que afeta o sistema nervoso.

Em indivíduos com EM, o sistema imune do corpo ataca e danifica uma substância gordurosa que envolve e protege os nervos chamada mielina. Como resultado, impulsos nervosos (ou mensagens) que viajam de e para o cérebro não são fluidos ou são interrompidos, como um cabo elétrico desgastado que não funciona corretamente.

Autoimune:
quando o sistema imune de alguém ataca seu próprio corpo, causando inflamação

Crianças e adolescentes também têm EM!

- A maioria das crianças e adolescentes com EM tem um tipo de EM chamado *EM recidivante-remittente (EMRR)*
- A EMRR é o tipo mais comum de EM e é conhecida por ter períodos em que sintomas novos ou existentes pioram (recidiva) seguidos por um período de recuperação em que poucos ou nenhum sintoma estão presentes (remissão)
- Durante recidivas de EMRR, o sistema imune ataca as fibras nervosas e causa a inflamação (ou inchaço) que leva aos sintomas de EM



Como a EM é tratada?

- Não há cura para a EM. O objetivo dos tratamentos atuais é reduzir o número de recidivas e ajudar a manter os sintomas sob controle
- Alguns tratamentos podem ser prescritos para crianças e adolescentes com EM, mas são necessárias mais opções para ajudar a controlar melhor as recidivas e permitir que crianças e adolescentes participem totalmente das atividades cotidianas
- Os estudos clínicos fazem parte do processo de identificação e disponibilização de novas opções de tratamento para crianças e adolescentes

Sintomas comuns



Sensação de cansaço ou fraqueza



Sensação de formigamento



Tontura



Dificuldade para andar ou se equilibrar



Dormiência



Problemas de raciocínio ou memória



Sentir raiva ou tristeza sem motivo



Visão embaçada

O que é um estudo clínico?

- Antes que um novo medicamento possa ser administrado a crianças ou adolescentes, uma equipe de médicos e pesquisadores precisa garantir que ele seja seguro e que funcione. Para garantir isso, eles fazem “estudos clínicos” ou “estudos”
- Estudos clínicos de um novo medicamento (também conhecido como “medicamento do estudo”) são feitos em **três fases**:



Fase I



Fase II



Fase III

Na **Fase I**, o medicamento do estudo é administrado a voluntários adultos saudáveis para garantir que é seguro

Na **Fase II**, o medicamento do estudo é administrado a voluntários que têm a doença (por exemplo, EM) para a qual o medicamento do estudo é feito

Na **Fase III**, o medicamento do estudo é administrado a ainda mais pessoas, em diferentes países, que têm a doença para verificar se ele funciona bem para tratá-la e compará-lo com outros medicamentos para essa doença

Todos os estudos clínicos devem seguir regras rigorosas para manter os voluntários seguros, e um grupo de especialistas garante que todas as regras estão sendo seguidas.

O que é o estudo Operetta2?

O **Operetta2** é um estudo de Fase III conduzido em países em todo o mundo. O objetivo deste estudo é comparar os efeitos, bons ou ruins, do medicamento do estudo ocrelizumabe (ocrelizumab) versus fingolimode (fingolimod) no tratamento da EMRR em crianças e adolescentes.

Quem participará do estudo?

- **233 crianças e adolescentes** de todo o mundo que têm EMRR
- 10 a 17 anos de idade



Quais são os medicamentos do estudo e como eles funcionam?

Ocrelizumabe e fingolimode são medicamentos que reduzem temporariamente a inflamação causada pelo sistema imune e se destinam a reduzir a frequência de recidivas.

Medicamentos do estudo

Ocrelizumabe

pode ser prescrito para o tratamento da EM apenas em **adultos**



Fingolimode

pode ser prescrito para o tratamento de EMRR em crianças com **10 anos de idade ou mais**



Qual tratamento do estudo eu receberei?

Neste estudo, você receberá dois medicamentos do estudo:

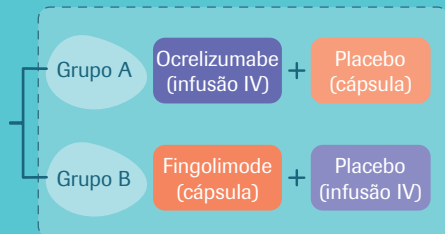
- um “real” (ocrelizumabe ou fingolimode),

E

- Um “falso” que parece real, mas não tem um medicamento ativo; isso é chamado de **placebo**

Um placebo é um medicamento mascarado que não contém nenhum insumo farmacêutico ativo

Se o médico do estudo confirmar que você pode participar do estudo com segurança, você será colocado em um dos dois grupos de tratamento (Grupos A ou B) “aleatoriamente”, ou “ao acaso”.



Como eu tomarei os medicamentos do estudo?

Independente do grupo de tratamento (A ou B) em que estiver, você receberá o medicamento do estudo de duas maneiras:

- **Ocrelizumabe (ou placebo): Infusão IV** durante uma visita do estudo na clínica cerca de uma vez a cada 6 meses
- **Fingolimode (ou placebo): Cápsulas** (como comprimidos) tomadas diariamente em casa

Independente do grupo em que estiver, você receberá tratamento ativo

Ocrelizumabe ou placebo (infusão IV)



Primeira dose

- **Administrada em duas partes** (a 1ª metade da dose no Dia 1 e a 2ª metade da dose 2 semanas depois)

Doses subsequentes

- Dose completa administrada uma vez a cada **6 meses**

Fingolimode ou placebo (cápsulas)



Primeira dose

- Tomada por via oral na clínica (uma cápsula)

Doses subsequentes

- Tomadas em casa por via oral **diariamente** (uma cápsula)

Infusão intravenosa (IV):
quando um medicamento é administrado lentamente em seu braço

O que acontece durante o estudo Operetta2?

O estudo Operetta2 tem quatro partes:

Triagem

para verificar se você pode participar do estudo com segurança

Parte 1 do tratamento

você será incluído no estudo e colocado em um dos dois grupos de tratamento (Grupo A ou Grupo B) e receberá ocrelizumabe ou fingolimode

Parte 2 do tratamento

é uma parte opcional do estudo Operetta2, em que você receberá ocrelizumabe somente se esta for a melhor escolha para você

Acompanhamento

é usada para verificar seu estado de saúde assim que o tratamento do estudo for concluído

Durante a parte 1 do tratamento, nem você, nem seus pais/cuidadores nem o médico do estudo saberão em qual grupo de tratamento você foi colocado. O médico do estudo pode descobrir em qual grupo de tratamento você foi colocado se houver preocupação com a sua segurança

Antes que você possa participar do estudo, pediremos que você e seus pais/cuidadores leiam e assinem o **termo de consentimento livre e esclarecido (TCLE) e o termo de assentimento**. Estes são documentos importantes!

Processo de consentimento/assentimento livre e esclarecido

O TCLE e o assentimento devem ser assinados antes da realização de qualquer procedimento do estudo.

Esse processo garantirá que:

- Você e seus pais/cuidadores compreendam todas as informações sobre a participação no estudo
- É a oportunidade para fazer perguntas antes de você tomar uma decisão de participar

A participação em um estudo clínico é uma grande decisão para qualquer família e **é sua escolha**.

Leve o tempo que for necessário para decidir se este estudo é adequado para você e sua família.

Se decidir que deseja parar de participar no estudo, você pode fazê-lo a qualquer momento, seja qual for o motivo!

Triagem

Esse processo começa assim que o TCLE/assentimento for assinado e pode durar até **10 semanas**.

O médico do estudo verificará se o estudo é adequado para você. Você fará alguns exames e procedimentos para garantir que pode participar do estudo e verificar se isso é seguro para você.

Principais critérios para participar



TCLE/Termos de assentimento assinados



10 a 17 anos de idade



Diagnóstico confirmado de EMRR



Possibilidade de fazer RM (ressonância magnética)

Testes e procedimentos



Histórico médico



Exame físico



Perguntas sobre sua doença



Exame de RM do cérebro



Exame oftalmológico



Teste de quão bem seu cérebro processa as informações



Exames de sangue



Exames de urina



Raios-x do punho/mão (opcional)

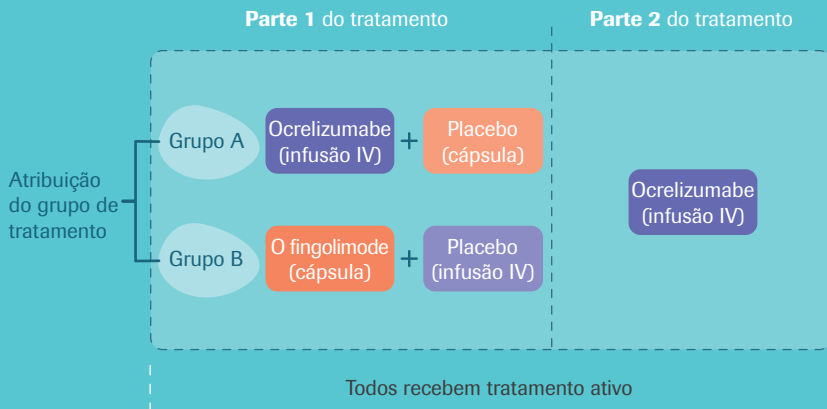
Parte 1 do tratamento:

- Você será colocado em um grupo de tratamento e receberá ocrelizumabe ou fingolimode
- Qualquer que seja o grupo em que estiver, você também tomará um **placebo**
- A parte 1 do estudo dura pelo menos dois anos, mas pode ser mais longa
- Ao final da parte 1, você será informado sobre qual medicamento do estudo recebeu

Parte 2 do tratamento:

- Nesta parte do estudo, você receberá apenas ocrelizumabe
- A cada 6 meses (duas vezes por ano) você irá a clínica do estudo para receber uma infusão de ocrelizumabe
- A parte 2 do estudo irá durar aproximadamente três anos, mas pode ser mais longa

A parte 2 do tratamento é opcional



Durante as partes 1 e 2 do tratamento, você terá que ir à clínica do estudo pelo menos 6 vezes por ano. Em cada visita você fará alguns exames e procedimentos semelhantes aos que você fez durante a triagem.

Visitas esperadas durante as partes 1 e 2 do tratamento



Visita do estudo 2
semanas antes da infusão IV
(1 a 2 horas)



Visita do estudo de **infusão IV**
(3 a 7 horas)



Ligação telefônica
1 dia após a infusão IV e mensalmente



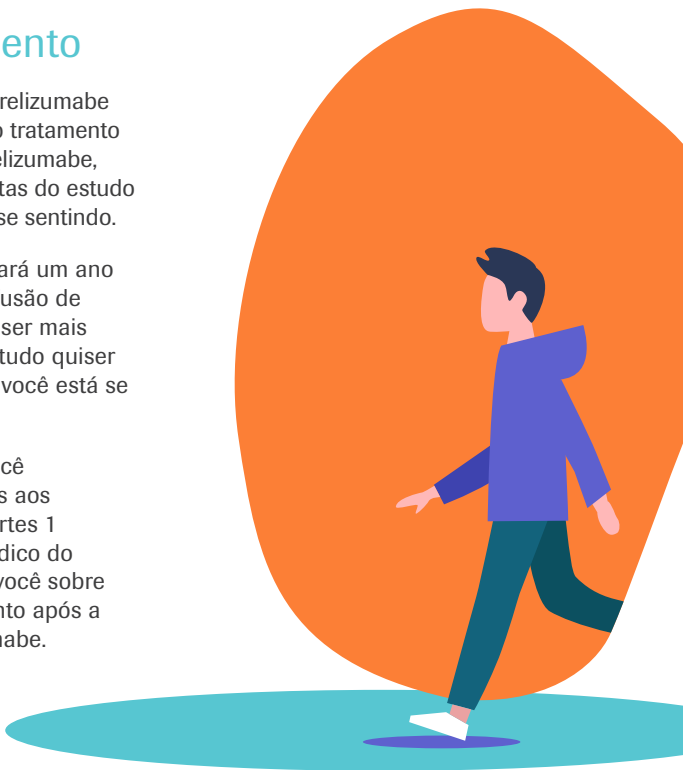
Visita do estudo a
cada 3 meses
(3 a 7 horas)

Acompanhamento

Se você tiver recebido ocrelizumabe durante a parte 1 ou 2 do tratamento e parar de receber o ocrelizumabe, você continuará a ter visitas do estudo para verificar como está se sentindo.

O acompanhamento durará um ano a partir da sua última infusão de ocrelizumabe. Isso pode ser mais longo se o médico do estudo quiser continuar verificando se você está se sentindo bem.

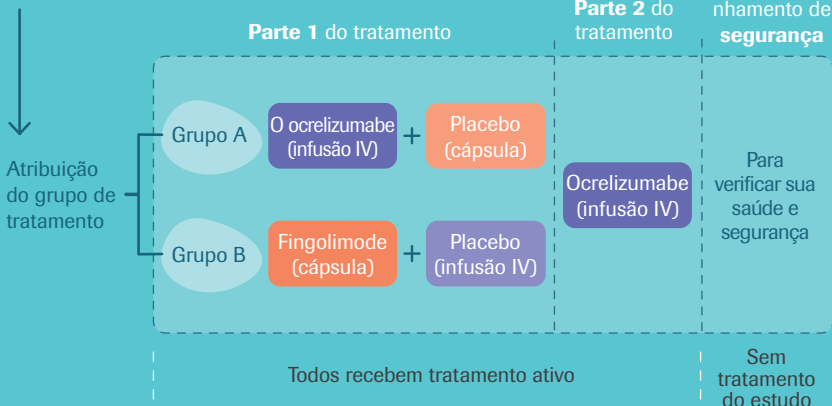
Durante essas visitas, você fará exames semelhantes aos realizados durante as partes 1 e 2 do tratamento. O médico do estudo conversará com você sobre suas opções de tratamento após a interrupção do ocrelizumabe.



Quanto tempo dura o estudo Operetta2?

Você permanecerá no estudo **por pelo menos 2 anos**, mas pode demorar mais se decidir participar da Parte 2.

233 crianças e adolescentes (10 a 17 anos de idade)



← A duração total do estudo é de 2 a 6 anos (ou mais) →

O que acontece se eu fizer 18 anos durante o estudo?

Se você completar 18 anos enquanto estiver no estudo Operetta2, você pode concluir todas as suas partes.

Como pai/mãe/cuidador, quais são as minhas obrigações durante o estudo Operetta2?

- Durante este estudo, se você deu seu consentimento, pediremos que venha à clínica do estudo com seu filho cerca de uma vez a cada 6 meses durante as partes 1 e 2, para preencher alguns questionários
- Você deve avisar o médico do estudo se seu filho apresentar qualquer alteração na saúde, nos cuidados ou na medicação. Tais como:
 - Novos sintomas ou sintomas que pioram
 - Mudanças nos medicamentos
 - Visitas a outro médico ou hospital
- Garantia de que seu filho não participa de outro estudo clínico



Quais são os riscos associados à participação no Operetta2 e por que devo participar?

- Os médicos não sabem se este estudo vai trazer melhora para você. Se participar do estudo, você pode melhorar, permanecer igual ou piorar

Você será monitorado atentamente quanto a quaisquer efeitos colaterais durante todo o estudo pelo médico do estudo

- As informações deste estudo ajudarão crianças e adolescentes que vivem com EM no futuro e os profissionais médicos a aprender mais sobre o medicamento do estudo e o tratamento da EMRR em crianças e adolescentes (10 a 17 anos de idade)
- Pode haver riscos ou efeitos colaterais envolvidos na participação neste estudo. Você e seus pais ou responsáveis serão informados sobre os riscos e benefícios antes de tomar uma decisão sobre a participação

Há algum custo associado à participação no Operetta2?

- Você não será cobrado pelos medicamentos do estudo enquanto estiver participando do Operetta2
- Além disso, todos os procedimentos necessários para a participação no estudo e que não fazem parte dos seus cuidados médicos regulares serão fornecidos gratuitamente a você

Estou interessado. Com quem devo entrar em contato?

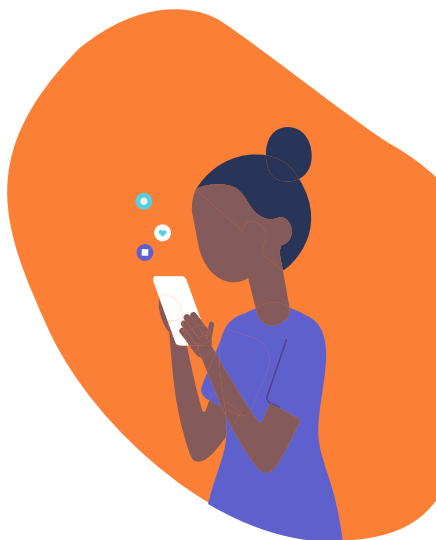
Se quiser saber mais ou se você ou alguém que você conheça queira ser considerado para participar do estudo Operetta2, entre em contato com a equipe do estudo.

Informações de contato da equipe do estudo Operetta2

Nome:

Local:

Telefone:



Observações

Operetta²