

Operetta2



Μια κλινική ερευνητική
μελέτη για παιδιά και εφήβους
που ζουν με σκλήρυνση κατά
πλάκας (ΣΚΠ)

Πίνακας περιεχομένων

Ορισμός της MS	2
Τα παιδιά και οι έφηβοι μπορούν και αυτά να πάσχουν από ΣΚΠ!	2
Πώς θεραπεύεται η ΣΚΠ;	3
Τι είναι μια ερευνητική μελέτη;	4
Τι είναι η μελέτη Operetta2;	5
Ποια είναι τα φάρμακα της μελέτης και πώς λειτουργούν;	6
Πόσο διαρκεί η μελέτη Operetta2;	12
Ως γονέας/φροντιστής, ποιες είναι οι υποχρεώσεις μου κατά τη διάρκεια της μελέτης Operetta2;	13
Ποιοι είναι οι κίνδυνοι που σχετίζονται με τη συμμετοχή μου στη μελέτη Operetta2 και γιατί πρέπει να λάβω μέρος;	14
Υπάρχουν δαπάνες που σχετίζονται με τη συμμετοχή στην Operetta2;	14
Ενδιαφέρομαι, με ποιον πρέπει να επικοινωνήσω;	15

Ορισμός της ΣΚΠ

Η σκλήρυνση κατά πλάκας (ΣΚΠ) είναι μια απρόβλεπτη, κατά καιρούς προκαλούσα αναπηρία **αυτοάνοση** νόσος, που επηρεάζει το νευρικό σύστημα.

Σε άτομα που ζουν με ΣΚΠ, το ανοσοποιητικό σύστημα του οργανισμού επιτίθεται και καταστρέφει μια λιπώδη ουσία που περιβάλλει και προστατεύει τα νεύρα, που ονομάζεται μυελίνη. Ως αποτέλεσμα, οι νευρικοί παλμοί (ή μηνύματα) που ταξιδεύουν προς και από τον εγκέφαλο είναι ασαφείς ή διακεκομμένοι, όπως ένα ξεφτισμένο ηλεκτρικό καλώδιο που δεν λειτουργεί σωστά.

Αυτοάνοση:
όταν το ανοσοποιητικό σύστημα ενός ατόμου επιτίθεται στον ίδιο τον οργανισμό του προκαλώντας φλεγμονή

Τα παιδιά και οι έφηβοι μπορούν και αυτά να πάσχουν από ΣΚΠ!

- Τα περισσότερα παιδιά και έφηβοι που ζουν με ΣΚΠ έχουν έναν τύπο ΣΚΠ που ονομάζεται *υποτροπιάζουσα-διαλείπουσα ΣΚΠ (ΥΔΣΚΠ)*
- Η ΥΔΣΚΠ είναι ο πιο συχνός τύπος ΣΚΠ και είναι γνωστός για περιόδους κατά τις οποίες νέα ή υπάρχοντα συμπτώματα επιδεινώνονται (υποτροπή) και ακολουθείται από μια περίοδο ανάρρωσης όπου παρουσιάζονται λίγα ή καθόλου συμπτώματα (ύφεση)
- Κατά τη διάρκεια υποτροπών της ΥΔΣΚΠ, το ανοσοποιητικό σύστημα επιτίθεται στις νευρικές ίνες και προκαλεί φλεγμονή (ή οίδημα) που οδηγεί σε συμπτώματα της ΣΚΠ



Πώς θεραπεύεται η ΣΚΠ;

- Δεν υπάρχει θεραπεία για την ΣΚΠ. Ο στόχος των τρεχουσών θεραπειών είναι η μείωση του αριθμού των υποτροπών και η διατήρηση ελέγχου των συμπτωμάτων
- Ορισμένες θεραπείες μπορούν να συνταγογραφηθούν για παιδιά και εφήβους που ζουν με ΣΚΠ, αλλά απαιτούνται περισσότερες επιλογές για να βοηθήσουν στον καλύτερο έλεγχο των υποτροπών και να επιτρέψουν στα παιδιά και τους εφήβους να λάβουν μέρος πλήρως στις καθημερινές δραστηριότητες
- Οι κλινικές ερευνητικές μελέτες αποτελούν μέρος της διαδικασίας εντοπισμού και δημιουργίας νέων επιλογών θεραπείας για τα παιδιά και τους εφήβους

Συχνά συμπτώματα



Αίσθημα
κούρασης ή
αδυναμίας



Αίσθημα
μουδιάσματος



Ζάλη



Δυσκολία στο
περπάτημα ή την
ισορρόπηση



Μουδιασμα



Προβλήματα
σκέψης ή μνήμης



Αίσθημα θυμού ή
λύπης χωρίς λόγο



Θολή όραση

Τι είναι μια ερευνητική μελέτη;

- Πριν από τη χορήγηση ενός νέου φαρμάκου σε παιδιά ή εφήβους, πρέπει μια ομάδα ιατρών και ερευνητών να βεβαιωθούν ότι το φάρμακο είναι ασφαλές και ότι λειτουργεί. Για να βεβαιωθούν γι' αυτό, διεξάγουν «ερευνητικές μελέτες» ή «μελέτες»
- Οι ερευνητικές μελέτες ενός νέου φαρμάκου (γνωστού και ως «φάρμακο της μελέτης») πραγματοποιούνται σε **τρεις φάσεις**:



Φάση I



Φάση II



Φάση III

Στη **Φάση I**, το φάρμακο της μελέτης χορηγείται σε υγιείς ενήλικες εθελοντές, για να διασφαλιστεί ότι είναι ασφαλές

Στη **Φάση II**, το φάρμακο της μελέτης χορηγείται σε εθελοντές που έχουν την πάθηση (για παράδειγμα, ΣΚΠ) για την οποία παρασκευάζεται το φάρμακο της μελέτης

Στη **Φάση III**, το φάρμακο της μελέτης χορηγείται σε ακόμα περισσότερους ανθρώπους σε διαφορετικές χώρες που ζουν με την πάθηση, για να διαπιστωθεί πόσο καλά λειτουργεί για τη θεραπεία της και για να συγκριθεί με άλλα φάρμακα για την ίδια πάθηση

Όλες οι ερευνητικές μελέτες πρέπει να ακολουθούν αυστηρούς κανόνες για να διατηρούν τους εθελοντές ασφαλείς και μια ομάδα ειδικών διασφαλίζει ότι τηρούνται όλοι οι κανόνες.

Τι είναι η μελέτη Operetta2;

Η **Operetta2** είναι μια μελέτη φάσης III που διεξάγεται σε χώρες σε όλο τον κόσμο. Σκοπός αυτής της μελέτης είναι να συγκριθούν οι επιδράσεις, καλές ή κακές, του φαρμάκου της μελέτης οκρελιζουμάμπη (ocrelizumab) έναντι της φινγκολιμόδης (fingolimod) στη θεραπεία της ΥΔΣΚΠ σε παιδιά και εφήβους.

Ποιος θα λάβει μέρος στη μελέτη;

- **233 παιδιά και έφηβοι** από όλο τον κόσμο που ζουν με ΥΔΣΚΠ
- ηλικίας 10-17 ετών



Ποια είναι τα φάρμακα της μελέτης και πώς λειτουργούν;

Η οκρελιζουμάμπη και η φινγκολιμόδη είναι φάρμακα που μειώνουν προσωρινά τη φλεγμονή που προκαλείται από το ανοσοποιητικό σύστημα και προορίζονται για να μειώσουν τη συχνότητα των υποτροπών.

Φάρμακα της μελέτης

Οκρελιζουμάμπη



μπορεί να συνταγογραφηθεί για τη θεραπεία της ΣΚΠ **μόνο σε ενήλικες**

Φινγκολιμόδη



μπορεί να συνταγογραφηθεί για τη θεραπεία της ΥΔΣΚΠ σε παιδιά **ηλικίας 10 ετών και άνω**

Ποια θεραπεία της μελέτης θα λάβω;

Σε αυτήν τη μελέτη θα σας χορηγηθούν δύο φάρμακα της μελέτης:

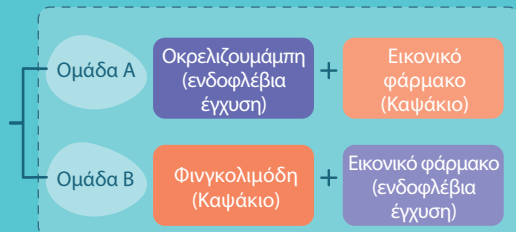
- ένα «πραγματικό» (οκρελιζουμάμπη ή φινγκολιμόδη),

ΚΑΙ

- ένα «ψεύτικο» που φαίνεται αληθινό αλλά δεν περιέχει δραστικό φάρμακο, αυτό ονομάζεται **εικονικό φάρμακο**

Εικονικό φάρμακο
είναι ένα ψεύτικο φάρμακο που δεν περιέχει καμία δραστική ουσία

Εάν ο ιατρός της μελέτης επιβεβαιώσει ότι μπορείτε να λάβετε μέρος στη μελέτη με ασφάλεια, θα τοποθετηθείτε σε μία από τις δύο ομάδες θεραπειών (Ομάδα Α ή Β) τυχαία.



Πώς θα παίρνω τα φάρμακα της μελέτης;

Ανεξάρτητα από την ομάδα θεραπείας (Α ή Β) στην οποία ανήκετε, θα σας δοθεί το φάρμακο της μελέτης με δύο τρόπους:

- **Οκρελιζουμάμπη (ή εικονικό φάρμακο): Ενδοφλέβια έγχυση** κατά τη διάρκεια μιας επίσκεψης της μελέτης στην κλινική περίπου μία φορά κάθε 6 μήνες
- **Φινγκολιμόδη ή εικονικό φάρμακο): Καψάκια** (όπως δισκία) που λαμβάνονται καθημερινά στο σπίτι

Ανεξάρτητα από την ομάδα στην οποία ανήκετε, θα λάβετε ενεργή θεραπεία

**Οκρελιζουμάμπη
ή εικονικό φάρμακο
(ενδοφλέβια έγχυση)**



Πρώτη δόση

- **Χορηγείται σε δύο μέρη** (1^η μισή δόση την Ημέρα 1 και 2^η μισή δόση 2 εβδομάδες αργότερα)

Επακόλουθες δόσεις

- Πλήρης δόση χορηγείται μία φορά κάθε **6 μήνες**

**Φινγκολιμόδη
ή εικονικό
φάρμακο
(καψάκια)**



Πρώτη δόση

- Λήψη από το στόμα στην κλινική (ένα καψάκιο)

Επακόλουθες δόσεις

- Λήψη στο σπίτι από το στόμα **καθημερινά** (ένα καψάκιο)

**Ενδοφλέβια (IV)
έγχυση:**

όταν ένα φάρμακο χορηγείται αργά στο βραχίονά σας

Τι συμβαίνει κατά τη διάρκεια της μελέτης Operetta2;

Η μελέτη Operetta2 έχει τέσσερα μέρη:

Διαλογή

για να δούμε αν μπορείτε να λάβετε μέρος στη μελέτη με ασφάλεια

Μέρος 1 θεραπείας

θα ενταχθείτε στη μελέτη και θα τοποθετηθείτε σε μία από τις δύο ομάδες θεραπείας (Ομάδα Α ή Ομάδα Β) και θα λάβετε οκρελιζουμάμπη ή φινγκολιμόδη

Μέρος 2 θεραπείας

είναι ένα προαιρετικό μέρος της μελέτης Operetta2 όπου **θα σας χορηγηθεί οκρελιζουμάμπη μόνο** εάν είναι η καλύτερη επιλογή για εσάς

Παρακο- λούθηση

χρησιμοποιείται για να ελέγξει την κατάσταση της υγείας σας μόλις ολοκληρωθεί η θεραπεία της μελέτης

Πριν μπορέσετε να λάβετε μέρος στη μελέτη, θα ζητηθεί από εσάς και τους γονείς/φροντιστές σας να διαβάσετε και να υπογράψετε το **Έντυπο Συγκατάθεσης κατόπιν Ενημέρωσης (ICF) και το έντυπο Συναίνεσης**. Αυτά είναι σημαντικά έγγραφα!

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 1 Θεραπείας, ούτε εσείς, ούτε ο γονέας/φροντιστής σας, ούτε ο ιατρός της μελέτης θα γνωρίζει σε ποιο σκέλος θεραπείας έχετε τοποθετηθεί. Ο ιατρός της μελέτης μπορεί να μάθει σε ποιο σκέλος θεραπείας έχετε τοποθετηθεί εάν υπάρχει ανησυχία για την ασφάλειά σας

Διαδικασία συγκατάθεσης/συναίνεσης κατόπιν ενημέρωσης

Το ICF και η Συναίνεση πρέπει να υπογραφούν πριν από τη διεξαγωγή οποιασδήποτε διαδικασίας της μελέτης.

Αυτή η διαδικασία θα διασφαλίσει ότι:

- Εσείς και οι γονείς/φροντιστές σας κατανοείτε όλες τις πληροφορίες σχετικά με τη συμμετοχή στη μελέτη
- Δίνεται η ευκαιρία να κάνετε ερωτήσεις πριν αποφασίσετε να συμμετάσχετε

Η συμμετοχή σε μια ερευνητική μελέτη είναι μια μεγάλη απόφαση για οποιαδήποτε οικογένεια και είναι **δική σας επιλογή**.

Αφιερώστε όσο χρόνο χρειάζεστε για να αποφασίσετε αν αυτή η μελέτη είναι κατάλληλη για εσάς και την οικογένειά σας.

Μπορείτε να αποφασίσετε να σταματήσετε τη συμμετοχή σας στη μελέτη σε οποιαδήποτε στιγμή και για οποιονδήποτε λόγο!

Διαλογή

Αυτή η διαδικασία ξεκινά μετά την υπογραφή του ICF/Συναίνεσης και μπορεί να διαρκέσει έως και **10 εβδομάδες**.

Ο ιατρός της μελέτης θα ελέγξει για να βεβαιωθεί ότι η μελέτη είναι κατάλληλη για σας. Θα υποβληθείτε σε ορισμένες εξετάσεις και διαδικασίες για να διασφαλιστεί ότι μπορείτε να λάβετε μέρος στη μελέτη εάν είναι ασφαλές για σας.

Βασικά κριτήρια συμμετοχής



Υπογεγραμμένα έντυπα ICF/συναίνεσης



ηλικίας 10-17 ετών



Επιβεβαιωμένη διάγνωση ΥΔΣΚΠ



Καταλληλότητα για εξέταση MRI

Εξετάσεις και διαδικασίες



Ιατρικό ιστορικό



Κλινική εξέταση



Ερωτήσεις για τη νόσο σας



Μαγνητική τομογραφία εγκεφάλου



Οφθαλμολογική εξέταση



Έλεγχος του πόσο καλά ο εγκέφαλός σας επεξεργάζεται πληροφορίες



Εξετάσεις αίματος



Εξετάσεις ούρων



Ακτινογραφία καρπού/χεριού (προαιρετική)

Μέρος 1 Θεραπείας:

- Θα τοποθετηθείτε σε μια ομάδα θεραπείας και θα λάβετε είτε οκρελιζουμάμπη είτε φινγκολιμόδη
- Σε όποια ομάδα κι αν είστε, θα λάβετε επίσης ένα **εικονικό φάρμακο**
- Αυτό το μέρος 1 της μελέτης διαρκεί τουλάχιστον 2 έτη, αλλά μπορεί να διαρκέσει και περισσότερο
- Στο τέλος του Μέρους 1, θα ενημερωθείτε για το φάρμακο της μελέτης που λάβατε

Μέρος 2 Θεραπείας:

- Σε αυτό το μέρος της μελέτης, θα σας χορηγηθεί μόνο οκρελιζουμάμπη
- Κάθε 6 μήνες (δύο φορές το χρόνο) θα επισκέπτεστε την κλινική της μελέτης για να λαμβάνετε έγχυση οκρελιζουμάμπης
- Το μέρος 2 της μελέτης θα διαρκέσει ~ 3 χρόνια, αλλά μπορεί να διαρκέσει και περισσότερο

Το Μέρος 2 Θεραπείας είναι προαιρετικό



Κατά τα Μέρη 1 και 2 της θεραπείας, θα πρέπει να επισκέπτεστε την κλινική της μελέτης τουλάχιστον 6 φορές κάθε χρόνο. Σε κάθε επίσκεψη, θα υποβάλλεστε σε ορισμένες εξετάσεις και διαδικασίες παρόμοιες με αυτές που κάνατε κατά τη διαλογή.

Αναμενόμενες επισκέψεις κατά τη διάρκεια των Μερών 1 και 2 της θεραπείας



Επίσκεψη της μελέτης

2 εβδομάδες πριν από την ενδοφλέβια έγχυση (1-2 ώρες)



Επίσκεψη της μελέτης

ενδοφλέβιας έγχυσης (3-7 ώρες)



Τηλεφωνική κλήση

1 ημέρα μετά την ενδοφλέβια έγχυση και μηνιαίως



Επίσκεψη της μελέτης

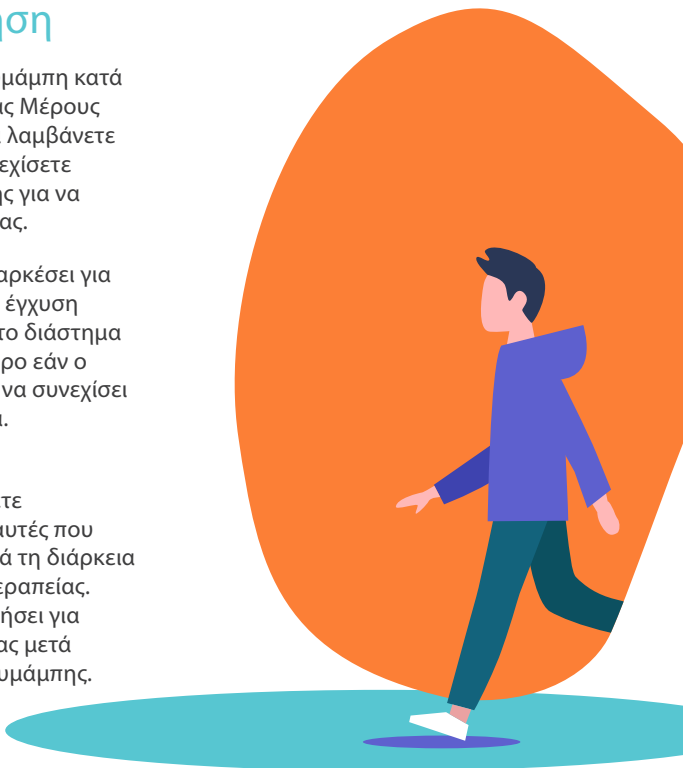
κάθε 3 μήνες (3-7 ώρες)

Παρακολούθηση

Αν έχετε λάβει οκρελιζουμάμπη κατά τη διάρκεια της θεραπείας Μέρους 1 ή 2 και σταματήσετε να λαμβάνετε οκρελιζουμάμπη, θα συνεχίσετε τις επισκέψεις της μελέτης για να ελέγχεται η κατάστασή σας.

Η παρακολούθηση θα διαρκέσει για 1 έτος από την τελευταία έγχυση οκρελιζουμάμπης. Αυτό το διάστημα μπορεί να είναι μεγαλύτερο εάν ο ιατρός της μελέτης θέλει να συνεχίσει να ελέγχει εάν είστε καλά.

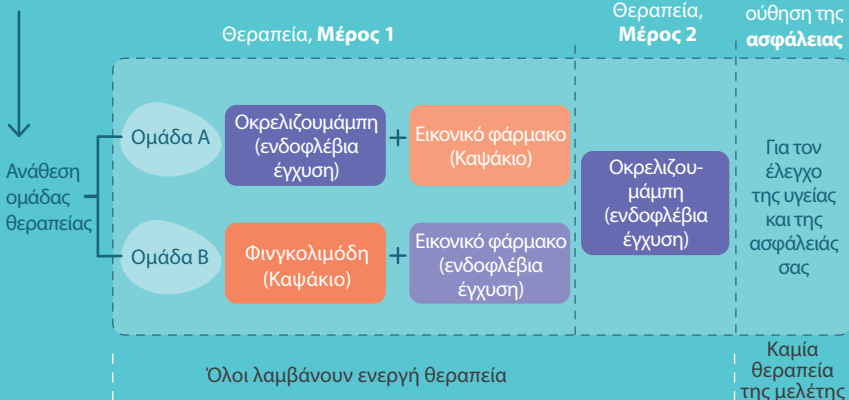
Κατά τη διάρκεια αυτών των επισκέψεων, θα κάνετε παρόμοιες εξετάσεις με αυτές που πραγματοποιήθηκαν κατά τη διάρκεια των Μερών 1 και 2 της θεραπείας. Ο γιατρός σας θα σας μιλήσει για τις επιλογές θεραπείας σας μετά τη διακοπή της οκρελιζουμάμπης.



Πόσο διαρκεί η μελέτη Operetta2;

Θα είστε στη μελέτη για **τουλάχιστον 2 χρόνια**, αλλά μπορεί να είναι περισσότερο, αν αποφασίσετε να λάβετε μέρος στο Μέρος 2.

233 παιδιά και έφηβοι (ηλικίας 10-17 ετών)



← Η συνολική διάρκεια της μελέτης είναι 2-6 έτη (ή περισσότερο) →

Τι θα συμβεί εάν γίνω 18 ετών κατά τη διάρκεια της μελέτης;

Εάν γίνετε 18 ετών ενώ συμμετέχετε στη μελέτη Operetta2, μπορείτε να ολοκληρώσετε όλα τα μέρη της μελέτης.

Ως γονέας/φροντιστής, ποιες είναι οι υποχρεώσεις μου κατά τη διάρκεια της μελέτης Operetta2;

- Κατά τη διάρκεια αυτής της μελέτης, αν έχετε δώσει τη συναίνεσή σας, θα σας ζητηθεί να έρθετε στην κλινική της μελέτης με το παιδί σας περίπου μία φορά κάθε 6 μήνες κατά τα Μέρη 1 και 2, για να συμπληρώσετε ορισμένα ερωτηματολόγια
- Θα πρέπει να ενημερώσετε τον ιατρό της μελέτης εάν το παιδί σας έχει οποιοσδήποτε αλλαγές στην υγεία, τη φροντίδα ή τη φαρμακευτική αγωγή. Όπως:
 - Νέα συμπτώματα ή συμπτώματα που επιδεινώνονται
 - Αλλαγές στη φαρμακευτική αγωγή
 - Επισκέψεις σε άλλο γιατρό ή νοσοκομείο
- Βεβαιωθείτε ότι το παιδί σας δεν λαμβάνει μέρος σε καμία άλλη ερευνητική μελέτη



Ποιοι είναι οι κίνδυνοι που σχετίζονται με τη συμμετοχή μου στη μελέτη Operetta2 και γιατί πρέπει να λάβω μέρος;

- Οι γιατροί δεν γνωρίζουν αν αυτή η μελέτη θα βελτιώσει την κατάστασή σας. Αν λάβετε μέρος στη μελέτη, μπορεί να βελτιωθείτε ή να παραμείνετε στην ίδια κατάσταση ή να χειροτερεύσετε

Θα παρακολουθείστε στενά σε όλη τη διάρκεια της μελέτης από τον ιατρό της μελέτης για οποιοσδήποτε ανεπιθύμητες ενέργειες

- Οι πληροφορίες από αυτήν τη μελέτη θα βοηθήσουν παιδιά και εφήβους που ζουν με ΣΚΠ στο μέλλον και θα βοηθήσουν τους επαγγελματίες υγείας να μάθουν περισσότερα για το φάρμακο της μελέτης και τη θεραπεία της ΥΔΣΚΠ σε παιδιά και εφήβους (10-17 ετών)
- Μπορεί να υπάρχουν κίνδυνοι ή ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονται με τη συμμετοχή σε αυτήν τη μελέτη. Εσείς και οι γονείς σας ή ο φροντιστής σας θα ενημερωθείτε για τους κινδύνους και τα οφέλη πριν λάβετε μια απόφαση σχετικά με τη συμμετοχή σας

Υπάρχουν δαπάνες που σχετίζονται με τη συμμετοχή στην Operetta2;

- Δεν θα χρεωθείτε για τα φάρμακα της μελέτης για όσο λαμβάνετε μέρος στη μελέτη Operetta2
- Επιπλέον, όλες οι διαδικασίες που είναι απαραίτητες για τη συμμετοχή στη μελέτη και δεν αποτελούν μέρος της συνήθους ιατρικής φροντίδας σας θα παρασχεθούν δωρεάν

Ενδιαφέρομαι, με ποιον πρέπει να επικοινωνήσω;

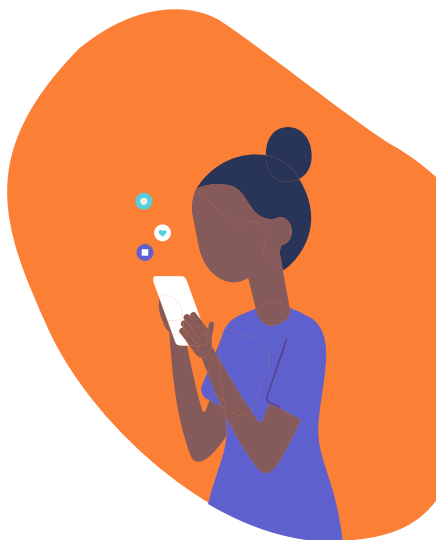
Αν ενδιαφέρεστε να μάθετε περισσότερα ή αν εσείς ή κάποιος που γνωρίζετε μπορεί να θέλει να λάβει μέρος στη μελέτη Operetta2, επικοινωνήστε με την ομάδα της μελέτης.

Στοιχεία επικοινωνίας της ομάδας της μελέτης Operetta2

Όνομα:

Τοποθεσία:

Αριθμός
τηλεφώνου:



Operetta²