

Operetta2



**Kliiniline teadusuuring
laste ja teismeliste
jaoks, kellel on
hulgiskleroos (MS)**

Sisukord

MS-i määratlemine	2
Lapsed ja teismelised võivad samuti hulgiskleroosi (MS) haigestuda!	2
Kuidas hulgiskleroosi (MS) ravitakse?	3
Mis on kliiniline teadusuuring?	4
Mis on uuring Operetta2?	5
Millised on uuringuravimid ja kuidas need toimivad?	6
Kui kaua uuring Operetta2 kestab?	12
Millised on minu kui vanema/hooldaja kohustused Operetta2 uuringu ajal?	13
Millised riskid kaasnevad Operetta2 uuringus osalemisega ja miks ma pean osalema?	14
Kas Operetta22 uuringus osalemisega on seotud kulused?	14
Olen huvitatud, kellega ühendust võtta?	15

MS-i määratlemine

Hulgiskleroos (MS) on ettearvamatu, vahel puuet tekitav **autoimmuunhaigus**, mis mõjutab närvisüsteemi.

MS-iga inimestel ründab ja kahjustab keha immuunsüsteem rasvast ainet, mis ümbritseb ja kaitseb närve, mida nimetatakse müeliiniks. Selle tulemusena on aju ja sealst välja liikuvad närviimpulsid (või sõnumid) ebaselged või katkenud nagu vana elektrijuhe, mis ei tööta korralikult.

Autoimmuunne:
kui kellegi immuunsüsteem ründab omaenda keha, põhjustades põletikku

Lapsed ja teismelised võivad samuti hulgiskleroosi (MS) haigestuda!

- Enamikul MS-iga elavatel lastel ja teismelistel on teatud tüüpi MS, mida nimetatakse *ägenemiste ja remissioonidega kulgevaks hulgiskleroosiks (RRMS)*
- RRMS on kõige levinum MS-i tüüp ja on tuntud perioodide poolest, mil uued või olemasolevad sümptomid süvenevad (ägenemine), millele järgneb taastumisperiood, mil sümptomeid esineb vähe või ei esine üldse (remissioon).
- RRMS-i ägenemise ajal ründab immuunsüsteem närvikiude ja põhjustab põletikku (või paistetust), mis põhjustab MS-i sümptomeid



Kuidas hulgiskleroosi (MS) ravitakse?

- MS-i ei ole võimalik ravida. Praeguste ravimeetodite eesmärk on vähendada ägenemiste arvu ja aidata hoida sümptomid kontrolli all.
- MS-iga lastele ja teismelistele võib määrata mõningaid ravimeetodeid, kuid on vaja rohkem võimalusi, et aidata paremini kontrollida ägenemisi ja võimaldada lastel ja teismelistel täiel määral osaleda igapäevastes tegevustes.
- Kliinilised uuringud on osa protsessist, mille eesmärk on tuvastada uued ravivõimalused ning teha need lastele ja noorukitele kättesaadavaks

Sagedased sümptomid



Väsimustunne või nõrkus



Kipitustunne



Peapööritus



Raskused kõndimisel või tasakaalu hoidmisel



Tuimus



Probleemid mõtlemise või mälu



Vihane või kurb tunne ilma põhjuset



Ähmane nägemine

Mis on kliiniline teadusuuring?

- Enne kui uut ravimit saab lastele või teismelistele anda, peab arstide ja teadlaste meeskond veenduma, et ravim on ohutu ja et see toimib. Selles veendumiseks teevad nad „teadusuuringuid“ või „uuringuid“.
- Uue ravimi (ehk uuringuravimi) teadusuuringud viiakse läbi **kolmes etapis**:



I faas



II faas



III faas

I faasis antakse uuringuravimit tervetele täiskasvanud vabatahtlikele, et tagada selle ohutus

II faasis antakse uuringuravimit vabatahtlikele, kellel on seisund (näiteks MS), mille jaoks uuringuravim on ette nähtud.

III faasis manustatakse uuringuravimit erinevates riikides veelgi enamatele inimestele, kellel see haigus on, et näha, kui hästi see ravib, ja võrrelda seda teiste selle haiguseisundi ravimitega.

Kõik teadusuuringud peavad järgima rangeid reegleid, et tagada vabatahtlike ohutus, ja ekspertide rühm tagab, et kõiki reegleid järgitakse.

Mis on uuring Operetta2?

Operetta2 on III faasi uuring, mis viidi läbi maailma eri riikides. Selle uuringu eesmärk on võrrelda uuringuravimi okrelizumabi head või halba toimet fingolimodiga RRMS-i ravis lastel ja teismelistel.

Kes osalevad uuringus?

- RRMS-iga **233 last ja teismelist** üle kogu maailma
- vanus 10–17 aastat



Millised on uuringuravimid ja kuidas need toimivad?

Okrelizumab (Ocrelizumab) ja fingolimod on ravimid, mis vähendavad ajutiselt immuunsüsteemi põhjustatud põletikku ja on ette nähtud ägenemiste vähendamiseks.

Uuringuravimid

Okrelizumabi

võib välja kirjutada MS-i raviks ainult täiskasvanutel



Fingolimod

võidakse määrata RRMS-i raviks **10-aastastel või vanematel lastel**



Millist uuringuravimit ma saan?

Selles uuringus antakse teile kahte uuringuravimit:

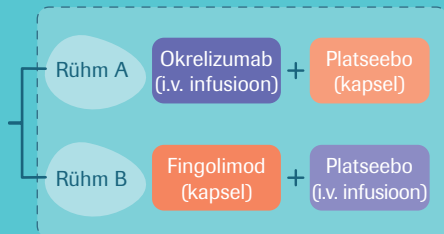
- üks „päris ravim“ (okrelizumab või fingolimod),

JA

- üks „valeravim“, mis näeb välja päris, kuid ei sisalda toimeainet – seda nimetatakse **platseeboks**

Platseebo
on ravim, mis ei
sisalda toimeainet.

Kui uuringuarst kinnitab, et te võite ohutult uuringus osaleda, paigutatakse teid ühte kahest ravigrupist (grupp A või B) „juhuslikult“ või „juhuslikkuse alusel“



Kuidas ma uuringuravimit võtaksin?

Olenemata sellest, millises ravirühmas te olete (A või B), antakse teile uuringuravimit kahel viisil:

- **Okrelizumab (või platseebo): i.v. infusioon** uuringuviisi ajal kliinikus umbes kord iga 6 kuu järel
- **Fingolimod (või platseebo): Iga** päev kodus võetavad kapslid (nagu tabletid)

Olenemata sellest, millisesse rühma kuulute, saate aktiivset ravi

Okrelizumab või platseebo (i.v. infusioon)



Esimene annus

- **Antakse kahes osas**
(1. poolannus 1. päeval ja
2. poolannus 2 nädalat hiljem)

Järgmised annused

- Täisannus üks kord iga
6 kuu järel

Fingolimod või platseebo (kapslid)



Esimene annus

- Võetakse suukaudselt
kliinikus (üks kapsel)

Järgmised annused

- Võetakse iga **päev kodus**
suu kaudu (üks kapsel)

**Intravenoosne (i.v.)
infusioon:**
kui ravimit manustatakse
aeglaselt käsivarde

Mis toimub uuringu Operetta2 ajal?

Operetta2 uuringus on neli osa:

Skrüinimine et näha, kas saate ohutult uuringus osaleda

**Ravi
1. osa**

Teid registreeritakse uuringusse ja paigutatakse ühte kahest ravirühmast (rühm A või rühm B) ning teile antakse okrelizumabi või fingolimodi.

**Ravi
2. osa**

on valikuline osa uuringust Operetta2, kus teile **antakse okrelizumabi ainult siis**, kui see on teie jaoks parim valik

Järelekontroll

kasutatakse teie tervisliku seisundi kontrollimiseks pärast uuringuravi lõppu

Enne kui saate uuringus osaleda, palutakse teil ja teie vanematel/hooldajatel lugeda läbi **teadva nõusoleku vorm ja nõusolekuvorm ning neile alla kirjutada**. Need on olulised dokumendid!

Ravi 1. osa ajal ei tea teie, teie vanem/hooldaja ega uuringuarst, millisesse ravirühma teid paigutatakse.

Uuringuarst saab teada, millisesse ravirühma teid paigutati, kui on mure teie ohutuse pärast.

Teadva nõusoleku protsess / nõusoleku andmise protsess

Teadva nõusoleku vorm ja nõusolek tuleb allkirjastada enne uuringuprotseduuride alustamist.

See protsess tagab, et:

- teie mõistate ja teie vanemad/hooldajad mõistavad kogu teavet uuringus osalemise kohta
- Enne kui otsustate osaleda, on teil võimalus esitada küsimusi.

Teadusuuringus osalemine on iga perekonna jaoks suur otsus ning see on **teie teha**.

Võtke kogu aeg, et otsustada, kas see uuring sobib teile ja teie perele.

Saate igal ajal ja mis tahes põhjusel uuringus osalemise lõpetada!

Skriinimine

See protsess algab pärast teadva nõusoleku / nõusoleku allkirjastamist ja võib kesta kuni **10 nädalat**.

Uuringuarst kontrollib, kas uuring on teie jaoks sobiv. Teile tehakse mõned testid ja protseduurid, et veenduda, kas saate uuringus osaleda ja kontrollida, kas see on teie jaoks ohutu.

Osalemise põhikriteeriumid



Allkirjastatud teadva nõusoleku vorm / nõusoleku vorm



vanus 10–17 aastat



Kinnitatud RRMS-i diagnoos



MRT-uuring

Analüüsid ja protseduurid



Haiguslugu



Füüsiline läbivaatus



Küsimused haiguse kohta



Aju MRT-uuring



Silmade läbivaatus



Kontrollimine, kui hästi teie aju informatsiooni töötleb



Vereanalüüsid



Uriinianalüüs



Randme/käe röntgen (valikuline)

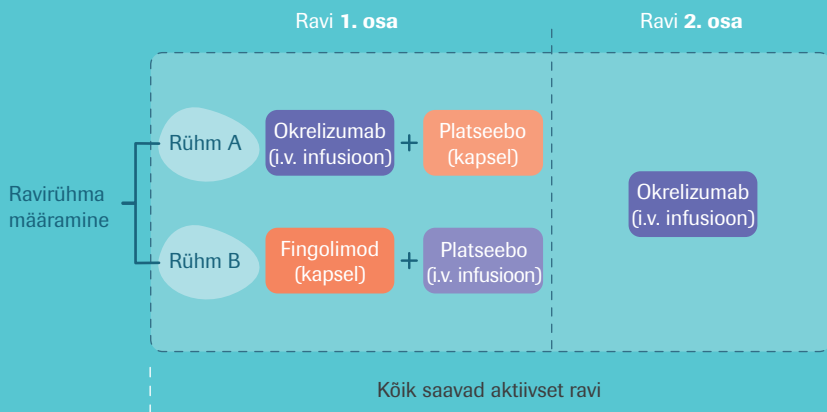
Ravi 1. osa:

- teid määratakse ravirühma ja te saate kas okrelizumabi või fingolimodi.
- Ükskõik millisesse rühma te kuulute, saate ka **platseebot**
- Uuringu 1. osa kestab vähemalt 2 aastat, kuid võib olla pikem.
- 1. osa lõpus öeldakse teile, millist uuringuravimit te saite.

Ravi 2. osa:

- Selles uuringu osas antakse teile ainult okrelizumabi.
- Iga 6 kuu järel (kaks korda aastas) külastate uuringukliinikut okrelizumabi infusiooni saamiseks.
- Uuringu 2. osa kestab ~ 3 aastat, kuid see võib olla pikem.

Ravi 2. osa on valikuline



Ravi 1. ja 2. osa jooksul peate külastama uuringukliinikut vähemalt 6 korda aastas. Igal visiidil tehakse teile mõned analüüsid ja protseduurid, mis on sarnased nendega, mida tegite skriiningu ajal.

1. ja 2. raviosa eeldatavad visiidid



Uuringuviisit 2 nädalat enne i.v. infusiooni (1–2 tundi)



i.v. infusiooni uuringuviisit (3–7 tundi)



Telefonikõne 1 päev pärast i.v. infusiooni ja kord kuus



Uuringuviisit iga 3 kuu (3–7 tundi) järel

Järelkontroll

Kui olete saanud okrelizumabi ravi 1. või 2. osa ajal ja te lõpetate okrelizumabi kasutamise, jätkatakse teie uuringuviisi, et kontrollida, kuidas teil läheb.

Järelkontroll kestab 1 aasta alates teie viimasest okrelizumabi infusioonist. See võib olla pikem, kui teie uuringuarst soovib jätkata teie seisundi kontrollimist.

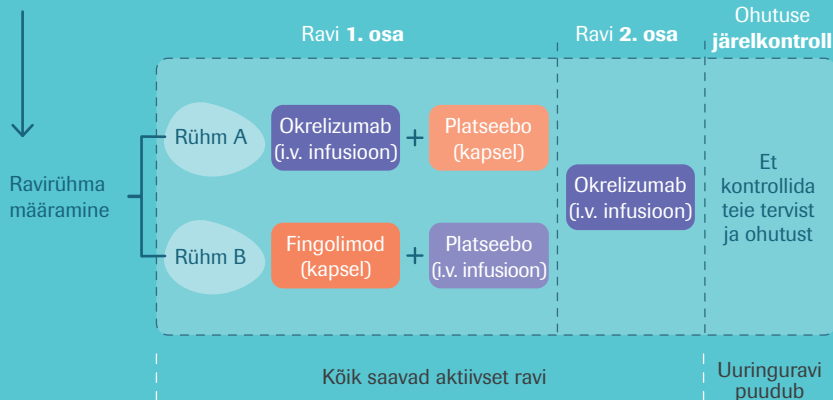
Nendel visiitidel teete samasuguseid analüüse nagu ravi 1. ja 2. osas. Teie arst räägib teile pärast okrelizumabi kasutamise lõpetamist teie ravivalikutest.



Kui kaua uuring Operetta2 kestab?

Te osalete uuringus **vähemalt 2 aastat**, kuid võib olla ka kauem, kui otsustate osaleda 2. osas.

233 last ja teismelist
(vanuses 10–17 aastat)



← **Uuringu kogukestus on 2–6 aastat (või kauem)** →

Mis juhtub, kui saan uuringu ajal 18-aastaseks?

Kui saate Operetta2 uuringus osalemise ajal 18-aastaseks, saate läbida kõik uuringu osad.

Millised on minu kui vanema/ hooldaja kohustused Operetta2 uuringu ajal?

- Selle uuringu ajal, kui andsite nõusoleku, palutakse teil 1. ja 2. osa ajal tulla koos lapsega uuringukliinikusse umbes kord 6 kuu jooksul, et täita mõned küsimustikud.
- Te peaksite andma uuringuarstile teada, kui teie lapsel on olnud tervise-, hooldus- või ravimitega seotud muudatusi. Näiteks:
 - Uued sümptomid või sümptomid, mis süvenevad
 - Muutused võetavates ravimites
 - Teise arsti või haigla külastused
- Veenduge, et teie laps ei osaleks üheski teises uuringus



Millised riskid kaasnevad Operetta2 uuringus osalemisega ja miks ma pean osalema?

- Arstid ei tea, kas see uuring muudab teie seisundi paremaks. Kui osalete uuringus, võib teie seisund paraneda, jääda samaks või halveneda.
- Sellest uuringust saadav teave aitab tulevikus hulgiskleroosiga elavatel lastel ja teismelistel ning meditsiinitöötajatel uuringuravimit ning RRMS-i ravi lastel ja teismelistel (10–17-aastastel) paremini tundma õppida.
- Selles uuringus osalemisega võivad kaasneda riskid või kõrvaltoimed. Enne osalemisotsuse langetamist teavitatakse teid ja teie vanemaid või hooldajat riskidest ja eelistest.

Uringuarst jälgib teid kogu uuringu vältel hoolikalt kõrvaltoimete suhtes.

Kas Operetta2 uuringus osalemisega on seotud kulused?

- Operetta2 uuringus osalemise ajal uuringuravimite eest tasu ei küsita.
- Lisaks tehakse tasuta kõiki uuringus osalemiseks vajalikke protseduure, mis ei ole osa teie tavapärasest arstiabist.

Olen huvitatud, kellega ühendust võtta?

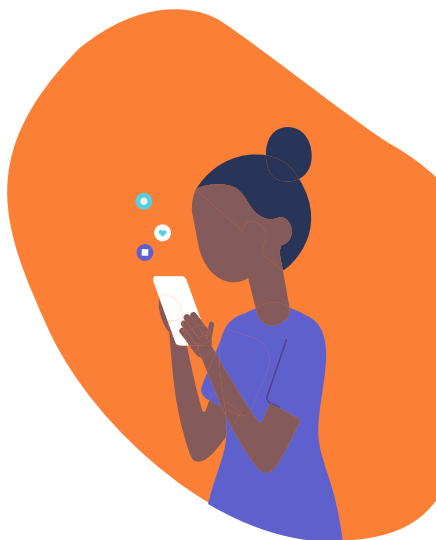
Kui soovite rohkem teada saada või kui teie sooviksite või mõni teie tuttav sooviks vabatahtlikuna Operetta2 uuringus osaleda, siis võtke ühendust uuringumeeskonnaga:

Operetta2 uuringumeeskonna kontaktandmed

Nimi:

Asukoht:

Telefoninumber:



Operetta²