

Operetta2



**Un studiu de cercetare
pentru copiii și adolescenții
care suferă de scleroză
multiplă (SM)**

Cuprins

Să definim SM	2
Copiii și adolescenții pot suferi și ei de SM!	2
Cum este tratată SM?	3
Ce este un studiu de cercetare clinică?	4
Ce este studiul Operetta2?	5
Ce sunt medicamentele de studiu și cum funcționează acestea?	6
Cât durează studiul Operetta2?	12
În calitate de părinte/îngrijitor, care sunt obligațiile mele în timpul studiului Operetta2?	13
Care sunt riscurile asociate cu participarea la Operetta2 și de ce ar trebui să particip?	14
Există costuri asociate cu participarea la Operetta2?	14
Sunt interesat(ă), pe cine trebuie să contactez?	15

Să definim SM

Scleroza multiplă (SM) este o boală neprevăzută, uneori invalidantă, **autoimună**, care afectează sistemul nervos.

La persoanele care suferă de SM, sistemul imunitar al organismului atacă și deteriorează o substanță grasă care înconjoară și protejează nervii, numită mielină. Drept urmare, impulsurile nervoase (sau mesajele) care se deplasează către creier și de la creier sunt neclare sau întrerupte, cum ar fi un cablu electric uzat care nu funcționează corespunzător.

Autoimună:
atunci când sistemul imunitar al unei persoane atacă propriul organism, provocând inflamație

Copiii și adolescenții pot suferi și ei de SM!

- Majoritatea copiilor și adolescenților care suferă de SM au un tip de SM numit *SM recurent-remisivă (SMRR)*
- SMRR este cel mai frecvent tip de SM și este cunoscut pentru perioadele în care simptomele noi sau existente se agravează (recidivă) urmate de o perioadă de recuperare în care sunt prezente puține simptome sau niciun simptom (remisiune)
- În timpul recidivelor SMRR, sistemul imunitar atacă fibrele nervoase și provoacă inflamația (sau umflarea) care duce la simptome de SM



Cum este tratată SM?

- Nu există niciun tratament pentru SM. Scopul tratamentelor actuale este de a reduce numărul de recidive și de a ajuta la menținerea simptomelor sub control
- Unele tratamente pot fi prescrise pentru copiii și adolescenții care suferă de SM, dar sunt necesare mai multe opțiuni pentru a ajuta la un control mai bun al recidivelor și pentru a permite copiilor și adolescenților să participe pe deplin la activitățile zilnice
- Studiile de cercetare clinică fac parte din proces pentru a identifica și a pune la dispoziția copiilor și adolescenților noi opțiuni de tratament

Simptome frecvente



Senzație de oboseală sau slăbiciune



Senzație de furnicăături



Amețeală



Dificultăți la mers sau la menținerea echilibrului



Amorțeală



Probleme cu gândirea sau memoria



Senzație de furie sau tristețe fără niciun motiv



Vedere neclară

Ce este un studiu de cercetare clinică?

- Înainte ca un medicament nou să poată fi administrat copiilor sau adolescenților, o echipă de medici și cercetători trebuie să se asigure că medicamentul este sigur și că funcționează. Pentru a se asigura de acest lucru, aceștia efectuează „studii de cercetare” sau „studii”
- Studiile de cercetare asupra unui medicament nou (cunoscut și ca „medicament de studiu”) se efectuează în **trei faze:**



Faza I



Faza II



Faza III

În **Faza I**, medicamentul de studiu este administrat voluntarilor adulți sănătoși, pentru a ne asigura că este sigur

În **Faza II**, medicamentul de studiu este administrat voluntarilor care suferă de boala (de exemplu, SM) pentru care este produs medicamentul de studiu

În **Faza III**, medicamentul de studiu este administrat și mai multor persoane, din diferite țări, care suferă de această afecțiune, pentru a vedea cât de bine acționează pentru a o trata și pentru a o compara cu alte medicamente pentru aceeași afecțiune

Toate studiile de cercetare trebuie să respecte reguli stricte pentru a menține voluntarii în siguranță, iar un grup de experți se asigură că toate regulile sunt respectate.

Ce este studiul Operetta2?

Operetta2 este un studiu de fază III desfășurat în țări din întreaga lume. Scopul acestui studiu este de a compara efectele, bune sau rele, ale medicamentului de studiu ocelizumab cu cele ale fingolimod în tratamentul SMRR la copii și adolescenți.

Cine va participa la studiu?

- **171 de copii și adolescenți** din întreaga lume care trăiesc cu SMRR
- Cu vârsta de 10-17 ani



Ce sunt medicamentele de studiu și cum funcționează acestea?

Ocrelizumab și fingolimod sunt medicamente care reduc temporar inflamația cauzată de sistemul imunitar și sunt concepute pentru a reduce frecvența recidivelor.

Medicamentele de studiu

Ocrelizumab

poate fi prescris pentru tratamentul SM **numai la adulți**



Fingolimod

poate fi prescris pentru tratamentul SMRR la copii cu vârsta de **cel puțin 10 ani**



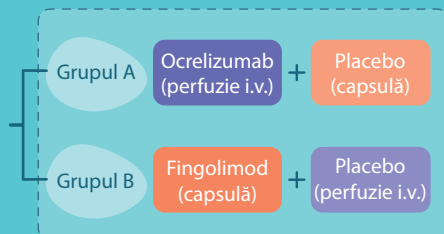
Ce tratament de studiu mi se va administra?

În acest studiu ți se vor administra două medicamente de studiu:

- unul „real” (ocrelizumab sau fingolimod),
ȘI
- unul „fals” care arată real, dar nu conține un medicament activ, acesta se numește **placebo**

Placebo este un medicament fals care nu conține niciun ingredient activ

Dacă medicul de studiu confirmă că poți participa la studiu în condiții de siguranță, vei fi inclus(ă) într-unul dintre cele două grupuri de tratament (Grupul A sau B) „în mod aleatoriu” sau „la întâmplare”:



Cum aș lua medicamentele de studiu?

Indiferent de grupul de tratament în care te afli (A sau B), ți se va administra medicamentul de studiu în două moduri:

- **Ocrelizumab (sau placebo): Perfuzie i.v.** în timpul unei vizite de studiu la clinică aproximativ o dată la 6 luni
- **Fingolimod (sau placebo): Capsule** (precum comprimatele) luate zilnic la domiciliu

Indiferent de grupul în care te afli, vei primi tratament activ

Ocrelizumab sau placebo (perfuzie i.v.)



Prima doză

- **Administrată în două părți** (prima jumătate de doză în Ziua 1 și a doua jumătate de doză 2 săptămâni mai târziu)

Doze ulterioare

- Doză completă administrată o dată la **6 luni**

Fingolimod sau placebo (capsule)



Prima doză

- Administrată pe cale orală la clinică (o capsulă)

Doze ulterioare

- Administrate **zilnic** pe cale orală la domiciliu (o capsulă)

Perfuzie intravenoasă (i.v.):
atunci când un medicament este administrat lent în braț

Ce se întâmplă în timpul studiului Operetta2?

Studiul Operetta2 cuprinde patru părți:

Selecție

pentru a vedea dacă poți participa la studiu în condiții de siguranță

Partea 1 de tratament

vei fi înrolat(ă) în studiu și vei fi repartizat(ă) într-unul dintre cele două grupuri de tratament (Grupul A sau Grupul B) și ți se va administra ocrelizumab sau fingolimod

Partea 2 de tratament

este o parte opțională a studiului Operetta2, în care **ți se va administra numai ocrelizumab**, dacă este cea mai bună alegere pentru tine

Urmărire

este folosită pentru a-ți verifica starea de sănătate după finalizarea tratamentului de studiu

Înainte de a putea participa la studiu, tu și părinții/îngrijitorii tăi veți fi rugați să citiți și să semnați **Formularul de consimțământ informat (FCI) și Formularul de acord**. Acestea sunt documente importante!

În timpul Părții 1 de tratament, nici tu, nici părintele/îngrijitorul tău și nici medicul de studiu nu veți ști în ce grup de tratament ești repartizat(ă). Medicul de studiu poate afla în ce grup de tratament ai fost repartizat(ă), dacă există motive de îngrijorare pentru siguranța ta

Procesul de obținere a consimțământului/acordului informat

FCI și Formularul de acord trebuie semnate înainte de efectuarea oricăror proceduri de studiu.

Acest proces va garanta că:

- Tu și părinții/îngrijitorii tăi înțelegeți toate informațiile despre participarea la studiu
- Aveți oportunitatea de a adresa întrebări înainte de a lua decizia de a participa

Participarea la un studiu de cercetare este o decizie importantă pentru orice familie și este **alegerea ta**.

Acordă-ți timpul necesar pentru a decide dacă acest studiu este potrivit pentru tine și familia ta.

Poți decide să optezi participarea la studiu în orice moment și din orice motiv!

Selecție

Acest proces începe după semnarea FCI/Formularului de acord și poate dura până la **10 săptămâni**.

Medicul de studiu va efectua verificări pentru a se asigura că studiul este potrivit pentru tine. Ți se vor efectua unele teste și proceduri pentru a ne asigura că poți participa la studiu și pentru a vedea dacă acest lucru este sigur pentru tine.

Criterii cheie de participare



Formulare FCI/de acord semnate



Cu vârsta de 10-17 ani



Diagnostic confirmat de SMRR



Capabil(ă) să efectueze IRM

Teste și proceduri



Antecedente medicale



Examen fizic



Întrebări despre boală



Scanare IRM cerebrală



Examen oftalmologic



Testarea capacității creierului de procesare a informațiilor



Analize de sânge



Teste de urină



Radiografie la nivelul încheieturii mâinii/mâinii (opțional)

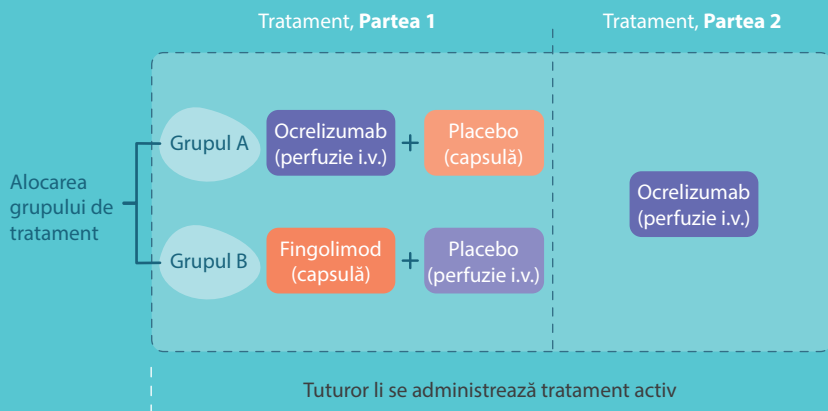
Partea 1 a tratamentului:

- Vei fi repartizat(ă) într-un grup de tratament și ți se va administra fie ocrelizumab, fie fingolimod
- Indiferent de grupul în care te afli, vei lua și un **placebo**
- Partea 1 a studiului va dura cel puțin 6 luni, dar poate dura mai mult
- La sfârșitul Părții 1, ți se va spune ce medicament de studiu ți s-a administrat

Partea 2 a tratamentului:

- În această parte a studiului ți se va administra numai ocrelizumab
- O dată la 6 luni (de două ori pe an) vei vizita clinica de studiu pentru a ți se administra ocrelizumab prin perfuzie
- Partea 2 a studiului va dura ~ 3 ani, dar poate dura mai mult

Partea 2 de tratament este opțională



În timpul Părților 1 și 2, va trebui să efectuezi vizite la clinica de studiu de cel puțin 6 ori pe an. La fiecare vizită, ți se vor efectua unele teste și proceduri similare cu cele efectuate în timpul selecției.

Vizite preconizate în timpul Părților 1 și 2 de tratament



Vizită de studiu
cu 2 săptămâni
înainte de
perfuzia i.v.
(1-2 ore)



perfuzie i.v.
în cadrul unei
vizite de studiu
(3-7 ore)



Apel telefonic 1
zi după perfuzia
i.v. și lunar



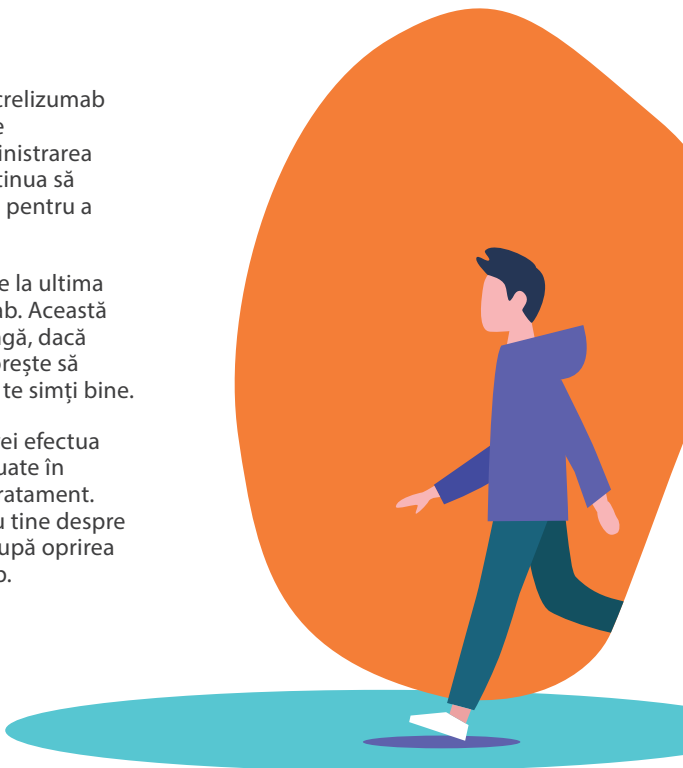
Vizită de studiu
o dată la 3 luni
(3-7 ore)

Urmărire

Dacă ți s-a administrat ocrelizumab în timpul Părții 1 sau 2 de tratament și oprești administrarea ocrelizumabului, vei continua să efectuezi vizite de studiu pentru a verifica cum te simți.

Urmărirea va dura 1 an de la ultima ta perfuzie cu ocrelizumab. Această perioadă poate fi mai lungă, dacă medicul tău de studiu dorește să continue să verifice dacă te simți bine.

În timpul acestor vizite, vei efectua teste similare celor efectuate în timpul Părților 1 și 2 de tratament. Medicul tău va discuta cu tine despre opțiunile de tratament după oprirea administrării ocrelizumab.



Cât durează studiul Operetta2?

Vei participa la studiu timp de **cel puțin 6 luni**, dar este posibil să dureze mai mult dacă decizi să participi la Partea 2.

171 de copii și adolescenți (cu vârsta de 10-17 ani)



Ce se întâmplă dacă împlinesc 18 ani în timpul studiului?

Dacă împlinești 18 ani în timpul studiului Operetta2, poți finaliza toate părțile studiului.

În calitate de părinte/îngrijitor, care sunt obligațiile mele în timpul studiului Operetta2?

- În timpul acestui studiu, dacă v-ați dat consimțământul, veți fi rugat(ă) să veniți împreună cu copilul dvs. la clinica de studiu aproximativ o dată la 6 luni în timpul Părților 1 și 2, pentru a completa unele chestionare
- Trebuie să îl informați pe medicul de studiu dacă copilul dvs. prezintă orice modificări privind starea de sănătate, îngrijirea sau medicația. Iată câteva exemple:
 - Simptome noi sau simptome care se agravează
 - Modificări ale medicației
 - Vizite la un alt medic sau spital
- Asigurați-vă că copilul dvs. nu participă la niciun alt studiu de cercetare



Care sunt riscurile asociate cu participarea la Operetta2 și de ce ar trebui să particip?

- Medicii nu știu dacă acest studiu te va face să te simți mai bine. Dacă participi la acest studiu, este posibil să te simți mai bine, la fel sau mai rău

Medicul de studiu te va monitoriza îndeaproape pe toată durata studiului pentru depistarea oricăror reacții adverse

- Informațiile din acest studiu vor ajuta în viitor copiii și adolescenții care suferă de SM și vor ajuta cadrele medicale să afle mai multe despre medicamentul de studiu și tratamentul SMRR la copii și adolescenți (cu vârsta cuprinsă între 10 și 17 ani)
- Pot exista riscuri sau reacții adverse asociate cu participarea la acest studiu. Tu și părinții sau îngrijitorul tău veți fi informați despre riscuri și beneficii înainte de a lua o decizie cu privire la participare

Există costuri asociate cu participarea la Operetta2?

- Nu va trebui să plătești pentru medicamentele de studiu pe durata participării la Operetta2
- În plus, toate procedurile care sunt necesare pentru participarea la studiu și care nu fac parte din îngrijirea ta medicală obișnuită îți vor fi furnizate gratuit

Sunt interesat(ă), pe cine trebuie să contactez?

Dacă ești interesat(ă) să afli mai multe sau dacă tu sau o persoană cunoscută vrei să fiți luat(ă) în considerare pentru studiul Operetta2, te rugăm să contactezi echipa de studiu.

Informații de contact ale echipei de studiu Operetta2

Nume:

Locație:

Număr de telefon:



Operetta²