

Operetta2



**Estudio de investigación
clínica para niños y
adolescentes que viven con
esclerosis múltiple (EM)**

Índice

Definición de la EM	2
¡Los niños y adolescentes también pueden tener EM!	2
¿Cómo se trata la EM?	3
¿Qué es un estudio de investigación?	4
¿Qué es el estudio Operetta2?	5
¿Cuáles son los medicamentos del estudio y cómo funcionan?	6
¿Cuánto dura el estudio Operetta2?	12
Como padre/madre/cuidador, ¿cuáles son mis obligaciones durante el estudio Operetta2?	13
¿Cuáles son los riesgos asociados con la participación en Operetta2 y por qué debería participar?	14
¿Hay algún costo asociado con la participación en Operetta2?	14
Estoy interesado, ¿a quién debo contactar?	15

Definición de la EM

La esclerosis múltiple (EM) es una enfermedad **autoinmunitaria** impredecible, en ocasiones incapacitante, que afecta el sistema nervioso.

En las personas que viven con EM, el sistema inmunitario del cuerpo ataca y daña una sustancia grasa que rodea y protege los nervios, denominada mielina. Como resultado, los impulsos nerviosos (o mensajes) que viajan hacia y desde el cerebro no son claros o son interrumpidos, como un cable eléctrico desgastado que no funciona correctamente.

Autoinmunitario:
cuando el sistema
inmunitario de una persona
ataca su propio cuerpo y
causa inflamación

¡Los niños y adolescentes también pueden tener EM!

- La mayoría de los niños y adolescentes que viven con EM tienen un tipo de EM llamado *EM remitente recurrente (EMRR)*.
- La EMRR es el tipo más frecuente de EM y se conoce por tener períodos en los que los síntomas nuevos o existentes empeoran (recurrencia), seguidos de un período de recuperación en el que hay pocos o ningún síntoma presente (remisión).
- Durante las recurrencias de la EMRR, el sistema inmunitario ataca las fibras nerviosas y causa inflamación (o hinchazón) que provoca los síntomas de EM.



¿Cómo se trata la EM?

- No hay cura para la EM. El objetivo de los tratamientos actuales es reducir la cantidad de recurrencias y ayudar a mantener los síntomas bajo control.
- Algunos tratamientos pueden recetarse a niños y adolescentes que viven con EM, pero se necesitan más opciones para ayudar a controlar mejor las recurrencias y permitir que los niños y adolescentes participen plenamente en las actividades diarias.
- Los estudios de investigación clínica forman parte del proceso para identificar y proporcionar nuevas opciones de tratamiento para niños y adolescentes.

Síntomas frecuentes



Sensación de cansancio o debilidad



Sensación de hormigueo



Mareos



Dificultad para caminar o mantener el equilibrio



Entumecimiento



Problemas de pensamiento o memoria



Sentimiento de enojo o tristeza sin un motivo



Visión borrosa

¿Qué es un estudio de investigación?

- Antes de que se pueda administrar un nuevo medicamento a niños o adolescentes, un equipo de médicos e investigadores debe asegurarse de que el medicamento sea seguro y funcione. Para asegurarse de que así sea, hacen “estudios de investigación” o “estudios”.
- Los estudios de investigación de un medicamento nuevo (también conocido como “medicamento del estudio”) se realizan en **tres fases**:



Fase I



Fase II



Fase III

En la **Fase I**, el medicamento del estudio se administra a voluntarios adultos sanos para garantizar que sea seguro.

En la **Fase II**, el medicamento del estudio se administra a voluntarios que tienen la afección (por ejemplo, EM) para la cual se elabora el medicamento del estudio.

En la **Fase III**, el medicamento del estudio se administra a aún más personas en diferentes países que viven con la afección para ver qué tan bien funciona para tratarla y compararla con otros medicamentos para esta afección.

Todos los estudios de investigación deben seguir reglas estrictas para mantener la seguridad de los voluntarios, y un grupo de expertos se asegura de que se sigan todas las reglas.

¿Qué es el estudio Operetta2?

Operetta2 es un estudio de fase III que se realiza en países de todo el mundo. El propósito de este estudio es comparar los efectos, buenos o malos, del medicamento del estudio ocrelizumab en comparación con fingolimod en el tratamiento de la EMRR en niños y adolescentes.

¿Quién participará en el estudio?

- **171 niños y adolescentes** de todo el mundo que viven con EMRR.
- Entre 10 y 17 años de edad.



¿Cuáles son los medicamentos del estudio y cómo funcionan?

El ocrelizumab y el fingolimod son medicamentos que reducen temporalmente la inflamación causada por el sistema inmunitario y tienen como objetivo reducir la frecuencia con la que se experimentan las recurrencias.

Medicamentos del estudio

Ocrelizumab

se puede recetar para el tratamiento de la EM **solo en adultos**



Fingolimod

se puede recetar para el tratamiento de la EMRR en niños de **10 años de edad o más**



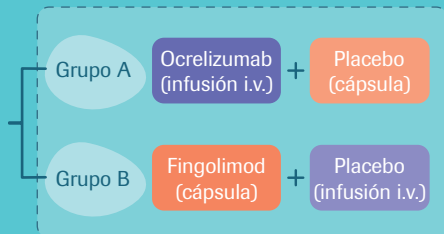
¿Qué tratamiento del estudio recibiré?

En este estudio, se te administrarán dos medicamentos del estudio:

- uno “real” (ocrelizumab o fingolimod);
- Y**
- uno “simulado” que parece real pero que no tiene un medicamento activo; esto se denomina **placebo**.

Un placebo es un medicamento simulado que no contiene ningún principio activo

Si el médico del estudio confirma que puedes participar en el estudio de manera segura, se te asignará a uno de los dos grupos de tratamiento (Grupo A o B) “al azar”.



¿Cómo recibiría los medicamentos del estudio?

Independientemente del grupo de tratamiento (A o B) en el que esté, recibirá el medicamento del estudio de dos maneras:

- **Ocrelizumab (o placebo): infusión i.v.** durante una visita del estudio en el centro aproximadamente una vez cada 6 meses.
- **Fingolimod (o placebo): cápsulas** (como comprimidos) que se toman todos los días en el hogar.

Independientemente del grupo en el que esté, recibirá tratamiento activo

Ocrelizumab o placebo (infusión i.v.)



Primera dosis

- **Administrada en dos partes** (la 1.ª mitad de la dosis el día 1 y la 2.ª mitad de la dosis 2 semanas después)

Dosis posteriores

- Dosis completa administrada una vez cada **6 meses**

Fingolimod o placebo (cápsulas)



Primera dosis

- Se toma por boca en el centro (una cápsula)

Dosis posteriores

- Se toma en el hogar por boca **todos los días** (una cápsula)

Infusión intravenosa (i.v.):
cuando se administra un medicamento lentamente en el brazo

¿Qué sucede durante el estudio Operetta2?

El estudio Operetta2 tiene cuatro partes:

Selección para ver si puedes participar de manera segura en el estudio

Parte 1 del tratamiento se te inscribirá en el estudio y se te asignará a uno de dos grupos de tratamiento (Grupo A o Grupo B) y recibirás ocrelizumab o fingolimod

Parte 2 del tratamiento es una parte opcional del estudio Operetta2, en el que **solo se te administrará ocrelizumab** si es la mejor opción para ti

Seguimiento se usa para controlar tu estado de salud una vez que el tratamiento del estudio esté completo

Antes de que puedas participar en el estudio, se te pedirá a ti y a tus padres/cuidadores que lean y firmen el **Formulario de consentimiento informado (Informed Consent Form, ICF) y el Formulario de asentimiento**. ¡Estos son documentos importantes!

Proceso de consentimiento/ asentimiento informado

El ICF y el asentimiento deben firmarse antes de que se realice cualquier procedimiento del estudio.

Este proceso garantizará lo siguiente:

- Que tú y tus padres/cuidadores comprendan toda la información sobre la participación en el estudio.
- Que tengan la oportunidad de hacer preguntas antes de tomar la decisión de participar.

Participar en un estudio de investigación es una gran decisión para cualquier familia, y es **tu elección**.

Tómate todo el tiempo necesario para decidir si este estudio es adecuado para ti y tu familia.

Durante la Parte 1 del tratamiento, ni tú, ni tu padre/ madre/cuidador ni el médico del estudio sabrán a qué grupo de tratamiento se te asignó.

El médico del estudio puede averiguar a qué grupo de tratamiento se te asignó si le preocupa tu seguridad

¡Puedes dejar de participar en el estudio en cualquier momento y por cualquier motivo!

Selección

Este proceso comienza una vez que se firma el ICF/asentimiento y puede durar hasta **10 semanas**.

El médico del estudio verificará si el estudio es adecuado para ti. Se te realizarán algunas pruebas y procedimientos para asegurar que puedas participar en el estudio y verificar si es seguro para ti.

Crterios clave para participar



Formularios de ICF/asentimiento firmados



Entre 10 y 17 años de edad



Diagnóstico confirmado de EMRR



Capaz de realizarse una RMN

Pruebas y procedimientos



Antecedentes médicos



Examen físico



Preguntas sobre la enfermedad



RMN del cerebro



Examen ocular



Evaluación de cuán bien tu cerebro procesa la información



Análisis de sangre



Análisis de orina



Radiografía de mano/muñeca (opcional)

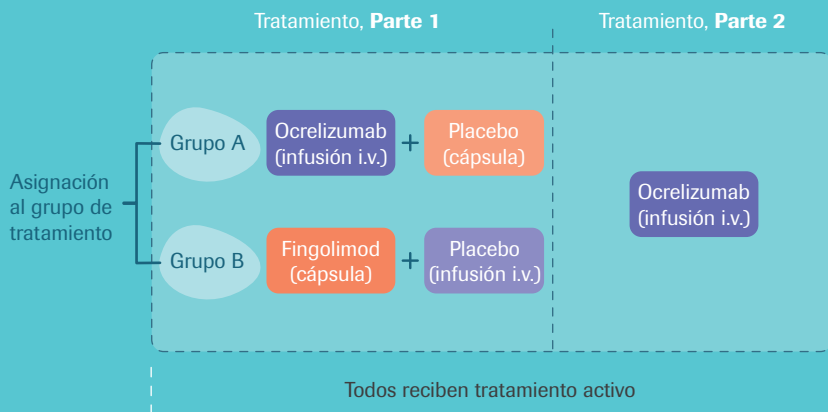
Parte 1 del tratamiento:

- Se te asignará a un grupo de tratamiento y recibirás ocrelizumab o fingolimod.
- Independientemente del grupo en el que estés, también recibirás **placebo**.
- La Parte 1 del estudio durará al menos 6 meses pero puede ser más prolongada.
- Al final de la Parte 1, se te informará qué medicamento del estudio recibiste.

Parte 2 del tratamiento:

- En esta parte del estudio, solo se te administrará ocrelizumab.
- Cada 6 meses (dos veces al año), visitarás el centro del estudio para recibir una infusión de ocrelizumab.
- La Parte 2 del estudio durará aproximadamente 3 años pero puede ser más prolongada.

La Parte 2 del tratamiento es opcional



Durante las Partes 1 y 2 del tratamiento, tendrás que visitar el centro del estudio al menos 6 veces por año. En cada visita, se te realizarán algunas pruebas y procedimientos similares a los que se te realizaron durante la selección.

Visitas previstas durante las Partes 1 y 2 del tratamiento



Visita del estudio

2 semanas antes de la infusión i.v. (de 1 a 2 horas)



Infusión i.v.

visita del estudio (de 3 a 7 horas)



Llamada telefónica

1 día después de la infusión i.v. y mensualmente



Visita del estudio

cada 3 meses (de 3 a 7 horas)

Seguimiento

Si has recibido ocrelizumab durante la Parte 1 o 2 del tratamiento y dejas de recibir ocrelizumab, continuarás teniendo visitas del estudio para verificar cómo te sientes.

El seguimiento durará 1 año desde tu última infusión de ocrelizumab, pero puede ser más prolongado si tu médico del estudio desea continuar controlando que te encuentres bien.

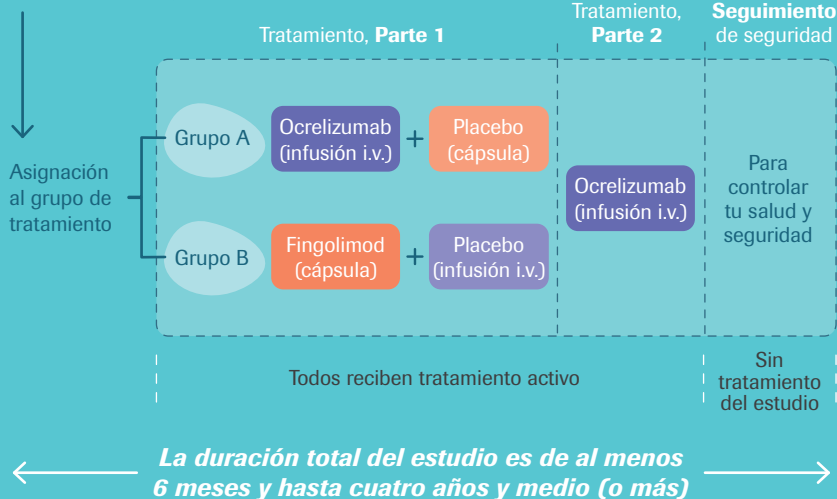
Durante estas visitas, se te realizarán pruebas similares a las que se te realizaron durante las Partes 1 y 2 del tratamiento. Tu médico hablará contigo sobre tus opciones de tratamiento después de interrumpir la administración de ocrelizumab.



¿Cuánto dura el estudio Operetta2?

Participarás en el estudio durante **al menos 6 meses**, pero es posible que sea más tiempo si decides participar en la Parte 2.

171 niños y adolescentes
(entre 10 y 17 años de edad)



¿Qué sucede si cumpla 18 años durante el estudio?

Si cumples 18 años mientras participas en el estudio Operetta2, puedes completar todas las partes del estudio.

Como padre/madre/cuidador, ¿cuáles son mis obligaciones durante el estudio Operetta2?

- Durante este estudio, si usted otorgó su consentimiento, se le pedirá que asista al centro del estudio con su niño aproximadamente una vez cada 6 meses durante las Partes 1 y 2 para completar algunos cuestionarios.
- Debe informar al médico del estudio si su niño presenta algún cambio en la salud, la atención o los medicamentos. Por ejemplo:
 - Síntomas nuevos o síntomas que empeoran
 - Cambios en los medicamentos
 - Visitas a otro médico u hospital
- Asegurarse de que su niño no participe en ningún otro estudio de investigación.



¿Cuáles son los riesgos asociados con la participación en Operetta2 y por qué debería participar?

- Los médicos no saben si este estudio te ayudará a mejorar. Si participas en el estudio, es posible que mejores, o que permanezcas igual o empeores.

El médico del estudio te controlará atentamente durante todo el estudio para detectar cualquier efecto secundario.

- La información de este estudio ayudará a niños y adolescentes que viven con EM en el futuro y ayudará a los profesionales médicos a obtener más información sobre el medicamento del estudio y el tratamiento de la EMRR en niños y adolescentes (entre 10 y 17 años de edad).
- La participación en este estudio puede implicar riesgos o efectos secundarios. Antes de que tomes una decisión sobre tu participación, se te informará a ti y a tus padres o a tu cuidador sobre los riesgos y beneficios.

¿Hay algún costo asociado con la participación en Operetta2?

- No se te cobrará por los medicamentos del estudio mientras participes en Operetta2.
- Además, todos los procedimientos que sean necesarios para la participación en el estudio y que no formen parte de la atención médica habitual se te proporcionarán sin costo alguno.

Estoy interesado, ¿a quién debo contactar?

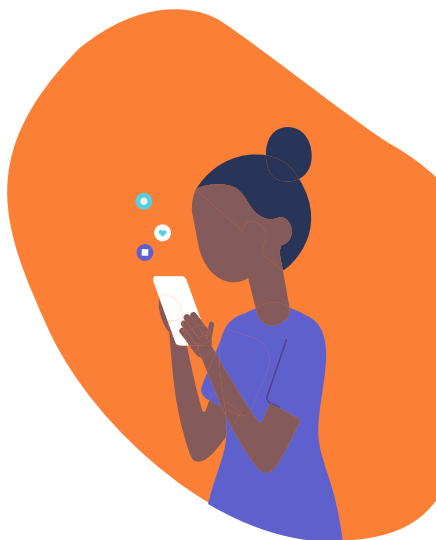
Si estás interesado en obtener más información, o si tú o alguien que tú conoces consideran la posibilidad de participar en el estudio Operetta2, deben comunicarse con el personal del estudio.

Información de contacto del personal del estudio Operetta2

Nombre:

Ubicación:

Número de teléfono:



Operetta²