

Operetta²



**Eine klinische Studie für
Kinder und Jugendliche mit
multipler Sklerose (MS)**

Inhaltsverzeichnis

Definition von MS	2
Auch Kinder und Jugendliche bekommen MS!	2
Wie wird MS behandelt?	3
Was ist eine klinische Studie?	4
Was ist die Operetta-2-Studie?	5
Was sind die Prüfsubstanzen und wie wirken sie?	6
Wie lange dauert die Operetta-2-Studie?	12
Was sind meine Pflichten als Eltern/Betreuperson während der Operetta-2-Studie?	13
Welche Risiken sind mit der Teilnahme an Operetta 2 verbunden und warum soll ich teilnehmen?	14
Sind mit der Teilnahme an Operetta 2 irgendwelche Kosten verbunden?	14
Ich bin interessiert. An wen kann ich mich wenden?	15

Definition von MS

Multiple Sklerose (MS) ist eine unvorhersehbare, manchmal behindernde **Autoimmunerkrankung**, die das Nervensystem betrifft.

Bei Personen mit MS greift das körpereigene Immunsystem eine die Nerven umgebende und schützende Fettsubstanz, das sogenannte Myelin, an und schädigt sie. Danach sind Nervenimpulse (bzw. Botschaften) zum und vom Gehirn unklar oder unterbrochen, wie ein ausgefranstes elektrisches Kabel, das nicht richtig funktioniert.

Autoimmun:
Wenn das Immunsystem
eines Menschen den
eigenen Körper angreift und
Entzündungen verursacht

Auch Kinder und Jugendliche bekommen MS!

- Die meisten Kinder und Jugendliche mit MS haben eine Art von MS, die als schubförmig *remittierende MS (RRMS)* bezeichnet wird.
- RRMS ist die häufigste Form der MS und umfasst Perioden, in denen sich neue oder bestehende Symptome verschlimmern (Schub/Rezidiv), gefolgt von einer Erholungsphase, in der nur wenige oder keine Symptome auftreten (Remission).
- Während RRMS-Schüben greift das Immunsystem die Nervenfasern an und verursacht Entzündungen (oder Schwellungen), die zu MS-Symptomen führen.



Wie wird MS behandelt?

- Es gibt kein Heilmittel für MS. Das Ziel der aktuellen Behandlungen ist es, die Anzahl der Schübe (Rezidive) zu reduzieren und die Symptome unter Kontrolle zu halten.
- Einige Behandlungen können Kindern und Jugendlichen mit MS verschrieben werden, es sind aber mehr Optionen erforderlich, um Schübe besser kontrollieren zu können und Kindern und Jugendlichen zu ermöglichen, an täglichen Aktivitäten teilzunehmen.
- Klinische Studien sind Teil des Prozesses für das Finden von neuen Behandlungsmöglichkeiten für betroffene Kinder und Jugendliche.

Häufige Symptome



Müdigkeit oder Schwächegefühl



Kribbelgefühl



Schwindelgefühl



Schwierigkeiten beim Laufen oder mit dem Gleichgewichtssinn



Taubheitsgefühl



Denk- oder Gedächtnisprobleme



Grundlose Wut oder Traurigkeit



Verschwommenes Sehen

Was ist eine klinische Studie?

- Bevor ein neues Medikament an Kinder oder Jugendliche verabreicht werden kann, muss ein Team aus Ärzten und Forschenden sicherstellen, dass das Medikament sicher ist und wirkt. Dafür werden klinische Studien durchgeführt.
- Klinische Studien zu einem neuen Medikament (auch als Prüfsubstanz bezeichnet) erfolgen in **drei Phasen**:



Phase I



Phase II



Phase III

In **Phase I** wird die Prüfsubstanz gesunden erwachsenen Freiwilligen verabreicht, um sicherzustellen, dass sie sicher ist.

In **Phase II** wird die Prüfsubstanz Freiwilligen verabreicht, die die Erkrankung (beispielsweise MS) haben, für die die Prüfsubstanz entwickelt wird.

In **Phase III** wird die Prüfsubstanz noch mehr Personen mit der Erkrankung in verschiedenen Ländern verabreicht, um zu erfahren, wie gut es bei der Behandlung wirkt, und um es mit anderen Medikamenten für diese Erkrankung zu vergleichen.

Alle klinischen Studien müssen strengen Regeln für die Sicherheit der Freiwilligen entsprechen. Eine Gruppe von Experten stellt sicher, dass alle Regeln befolgt werden.

Was ist die Operetta-2-Studie?

Operetta 2 ist eine Phase-III-Studie, die in Ländern auf der ganzen Welt durchgeführt wird. Das Ziel dieser Studie ist der Vergleich der positiven oder negativen Wirkungen der Prüfsubstanz Ocrelizumab gegenüber Fingolimod bei der Behandlung von RRMS bei Kindern und Jugendlichen.

Wer wird an der Studie teilnehmen?

- **171 Kinder und Jugendliche** mit RRMS aus der ganzen Welt
- 10 bis 17 Jahre alt



Was sind die Prüfsubstanzen und wie wirken sie?

Ocrelizumab und Fingolimod sind Medikamente, welche die durch das Immunsystem verursachten Entzündungen vorübergehend reduzieren und die Häufigkeit von Schüben reduzieren sollen.

Prüfsubstanzen

Ocrelizumab



kann nur als Behandlung von MS bei **Erwachsenen** verschrieben werden

Fingolimod



kann als Behandlung von RRMS bei Kindern **ab 10 Jahren** verschrieben werden

Welche Studienbehandlung werde ich erhalten?

In dieser Studie gibt es zwei Prüfsubstanzen:

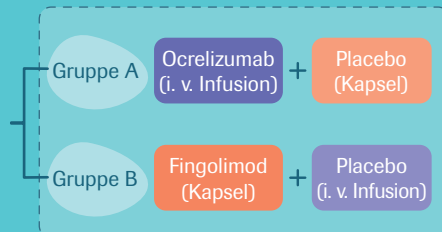
- Eine «echte» (Ocrelizumab oder Fingolimod)

UND

- Ein «Scheinmedikament», das zwar echt aussieht, aber keine Wirkstoffe enthält. Es wird als **Placebo** bezeichnet.

Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält.

Wenn die Studienärztin/der Studienarzt bestätigt, dass du auf sichere Weise an der Studie teilnehmen kannst, wirst du nach dem Zufallsprinzip einer von zwei Behandlungsgruppen (Gruppe A oder B) zugewiesen.



Wie werden die Prüfsubstanzen verabreicht?

Unabhängig davon, in welcher Behandlungsgruppe (A oder B) du bist, werden die Prüfsubstanzen auf zwei Arten verabreicht:

- **Ocrelizumab (oder Placebo): Intravenöse (i. v.) Infusion** während einer Studienvisite in der Klinik etwa einmal alle 6 Monate
- **Fingolimod (oder Placebo): Kapseln** (wie Tabletten), die täglich zu Hause einzunehmen sind

Unabhängig davon, in welcher Gruppe du bist, erhältst du eine wirkstoffhaltige Behandlung

Ocrelizumab oder Placebo (i. v. Infusion)



Erste Verabreichung

- **Verabreicht in zwei Teilen** (halbe Dosis an Tag 1 und halbe Dosis 2 Wochen später)

Nachfolgende Verabreichungen

- Ganze Dosis einmal alle **6 Monate**

Fingolimod oder Placebo (Kapseln)



Erste Verabreichung

- In der Klinik zum Schlucken (eine Kapsel)

Nachfolgende Verabreichungen

- **Täglich** zu Hause zum Schlucken (eine Kapsel)

**Intravenöse (i. v.)
Infusion:**
Wenn ein Medikament
langsam in deinen Arm
verabreicht wird

Was passiert während der Operetta-2-Studie?

Die Operetta-2-Studie besteht aus vier Teilen:

Voruntersuchung Zum Feststellen, ob du sicher an der Studie teilnehmen kannst

Behandlungsteil 1 Du wirst in die Studie aufgenommen und einer von zwei Behandlungsgruppen (Gruppe A oder B) zugewiesen und du erhältst Ocrelizumab oder Fingolimod.

Behandlungsteil 2 ist ein optionaler Teil der Operetta-2-Studie, in dem du **nur Ocrelizumab bekommst**, wenn es für dich die beste Wahl ist

Nachkontrolle dient dazu, deinen Gesundheitszustand nach Abschluss deiner Studienbehandlung zu überwachen

Während Teil 1 der Behandlung werden weder du noch deine Eltern/Betreuperson noch die Studienärztin/der Studienarzt wissen, welcher Behandlungsgruppe du zugeteilt bist. Die Studienärztin/Der Studienarzt kann aber die Behandlungsgruppe herausfinden, wenn es Bedenken hinsichtlich deiner Sicherheit gibt.

Bevor du an der Studie teilnehmen kannst, werden du und deine Eltern/Betreuperson gebeten, die **Patienteninformation und Einwilligungserklärungen** zu lesen und zu unterschreiben. Dies sind wichtige Dokumente!

Ablauf der Patienteninformation und Einwilligungserklärungen

Die Patienteninformation und Einwilligungserklärungen müssen unterzeichnet werden, bevor Studienverfahren durchgeführt werden können.

Dieser Ablauf stellt sicher, dass:

- du und deine Eltern/Betreuperson alle Informationen über die Teilnahme an der Studie verstehen
- du die Gelegenheit hast, Fragen zu stellen, bevor du deine Entscheidung über eine Teilnahme triffst

Die Teilnahme an einer klinischen Studie ist eine grosse Entscheidung für jede Familie und ist **deine Entscheidung**.

Bitte nimm dir so viel Zeit, wie du brauchst, und überdenke, ob diese Studie für dich und deine Familie infrage kommt.

Du kannst deine Teilnahme an der Studie auch später jederzeit und ohne Angabe von Gründen abbrechen.

Voruntersuchung

Dieser Prozess beginnt, sobald die Patienteninformation und Einwilligungserklärungen unterzeichnet worden sind, und kann bis zu **10 Wochen** dauern.

Die Studienärztin oder der Studienarzt wird überprüfen, ob die Studie für dich infrage kommt. Es werden einige Tests und Verfahren gemacht, um sicherzustellen, dass du an der Studie teilnehmen kannst, und um zu überprüfen, ob die Teilnahme für dich sicher ist.

Hauptkriterien für die Teilnahme



Unterzeichnete Einwilligungserklärungen



10 bis 17 Jahre alt



Bestätigte Diagnose einer RRMS



Kann MRIs durchführen lassen

Untersuchungen und Verfahren



Krankengeschichte



Körperliche Untersuchung



Fragen zur Erkrankung



MRI des Gehirns



Augenuntersuchung



Untersuchung, wie gut dein Gehirn Informationen verarbeitet



Blutuntersuchungen



Urinuntersuchungen



Röntgenaufnahme des Handgelenks/der Hand (optional)

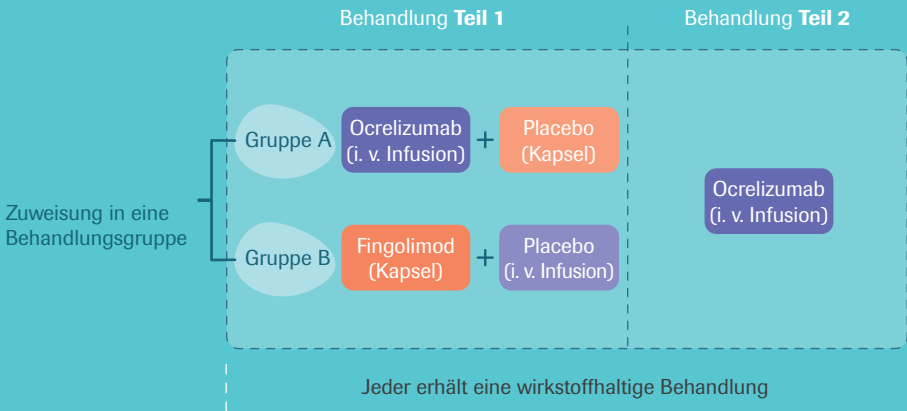
Behandlungsteil 1:

- Du wirst einer Behandlungsgruppe zugeteilt und bekommst entweder Ocrelizumab oder Fingolimod.
- Unabhängig davon, in welcher Gruppe du bist, bekommst du auch ein **Placebo**.
- Teil 1 der Studie dauert mindestens 6 Monate, kann aber auch länger dauern.
- Am Ende von Teil 1 wird dir mitgeteilt, welche Prüfsubstanz du erhalten hast.

Behandlungsteil 2:

- In diesem Teil der Studie erhältst du nur Ocrelizumab.
- Du musst alle 6 Monate (zweimal im Jahr) für die Ocrelizumab-Infusion in die Studienklinik kommen.
- Teil 2 der Studie dauert ca. 3 Jahre, kann aber auch länger dauern.

Behandlungsteil 2 ist optional.



Während Behandlungsteilen 1 und 2 musst du mindestens 6 Mal pro Jahr in die Studienklinik kommen. Bei jeder Visite werden bei dir einige Untersuchungen und Verfahren durchgeführt, die denen ähneln, die während der Voruntersuchung bei dir erfolgt sind.

Erwartete Visiten während Behandlungsteilen 1 und 2



Studienvisite

2 Wochen vor der
i. v. Infusion
(1–2 Stunden)



**Studienvisite
für die i. v.
Infusion**
(3–7 Stunden)



Telefonanruf
1 Tag nach der
i. v. Infusion
und monatlich



Studienvisiten
alle 3 Monate
(3–7 Stunden)

Nachkontrolle

Wenn du während Behandlungsteil 1 oder 2 Ocrelizumab erhalten hast und jetzt nicht mehr bekommst, musst du weiterhin für Kontrollen zu Visiten kommen.

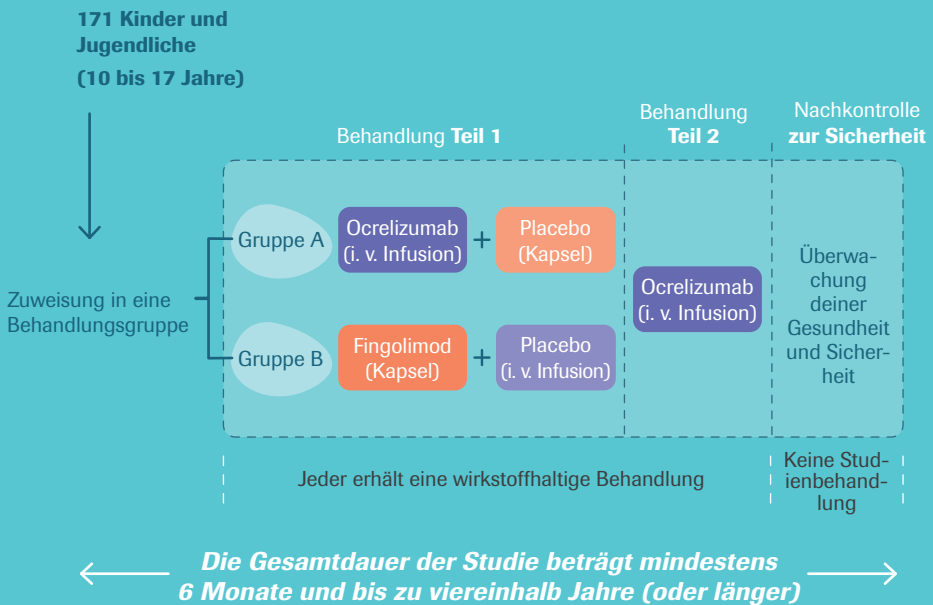
Die Nachkontrolle wird bei dir ab deiner letzten Ocrelizumab-Infusion 1 Jahr lang dauern. Sie kann auch länger dauern, wenn die Studienärztin/der Studienarzt weiterhin überwachen möchte, ob es dir gut geht.

Bei diesen Visiten werden ähnliche Untersuchungen wie in Behandlungsteilen 1 und 2 durchgeführt. Die Ärztin/Der Arzt wird mit dir über deine Behandlungsmöglichkeiten sprechen, nachdem du mit Ocrelizumab aufgehört hast.



Wie lange dauert die Operetta-2-Studie?

Du wirst **mindestens 6 Monate lang** an der Studie teilnehmen, aber es kann länger dauern, wenn du dich für eine Teilnahme an Teil 2 entscheidest.



Was passiert, wenn ich während der Studie 18 Jahre alt werde?

Wenn du während der Teilnahme an der Operetta-2-Studie 18 Jahre alt wirst, kannst du alle Teile der Studie absolvieren.

Was sind meine Pflichten als Eltern/Betreuperson während der Operetta-2-Studie?

- Sofern Sie Ihre Einwilligung erteilt haben, werden Sie während dieser Studie gebeten, mit Ihrem Kind in Teilen 1 und 2 etwa einmal alle 6 Monate in die Studienklinik zu kommen und einige Fragebögen auszufüllen
- Sie müssen die Studienärztin/den Studienarzt informieren, wenn es bei Ihrem Kind irgendwelche Veränderungen in seinem Gesundheitszustand, seiner Versorgung oder seinen Medikamenten gibt. Zum Beispiel:
 - Neue Symptome oder Symptome, die sich verschlimmern
 - Veränderungen bei den Medikamenten
 - Visiten bei einem anderen Arzt oder im Spital
- Ihr Kind darf nicht an einer anderen klinischen Studie teilnehmen



Welche Risiken sind mit der Teilnahme an Operetta 2 verbunden und warum soll ich teilnehmen?

- Die Ärzte wissen noch nicht, ob es dir durch diese Studie besser gehen wird. Wenn du an der Studie teilnimmst, kann es sein, dass es dir besser, unverändert oder schlechter geht.

Du wirst während der ganzen Studie von der Studienärztin/ vom Studienarzt sorgfältig auf Nebenwirkungen überwacht.

- Die Informationen aus dieser Studie werden Kindern und Jugendlichen mit MS in Zukunft helfen und die Wissenschaftler können mehr über die Prüfsubstanz und die Behandlung von RRMS bei Kindern und Jugendlichen (10 bis 17 Jahre) erfahren.
- Die Teilnahme an dieser Studie kann mit Risiken oder Nebenwirkungen verbunden sein. Du und deine Eltern oder deine Betreuungsperson werden über die Risiken und den Nutzen informiert, bevor du eine Entscheidung über die Teilnahme triffst.

Sind mit der Teilnahme an Operetta 2 irgendwelche Kosten verbunden?

- Die Prüfsubstanzen werden dir während der Teilnahme an Operetta 2 nicht in Rechnung gestellt.
- Ausserdem sind alle Verfahren, die für die Teilnahme an der Studie nötig und nicht Teil deiner regulären medizinischen Versorgung sind, kostenfrei.

Ich bin interessiert. An wen kann ich mich wenden?

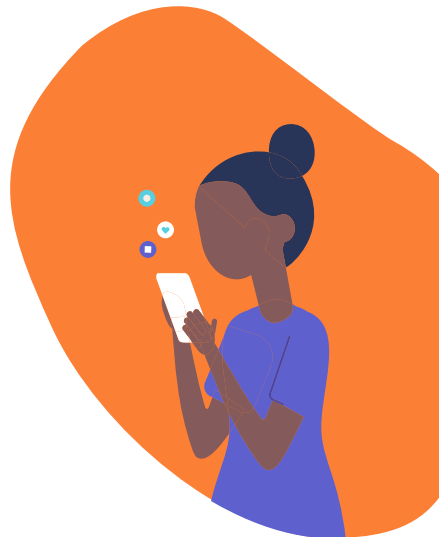
Wenn du daran interessiert bist, mehr zu erfahren, oder wenn du oder jemand, den du kennst, eine Teilnahme an der Operetta-2-Studie in Betracht ziehen würde, wende dich bitte an das Studienteam.

Kontaktinformationen des Teams der Operetta-2-Studie

Name:

Ort:

Telefonnummer:



Notizen

Operetta²