

Operetta2



**Operetta2 è uno studio
di ricerca clinica per
bambini/e e adolescenti
affetti/e da sclerosi
multipla (SM)**

Indice

Definizione della SM	2
Anche i/le bambini/e e gli/le adolescenti si ammalano di SM!	2
Come viene trattata la SM?	3
Che cos'è uno studio di ricerca?	4
Che cos'è lo studio Operetta2?	5
Quali sono i farmaci dello studio e come funzionano?	6
Quanto dura lo studio Operetta2?	12
In qualità di genitore/persona che si prende cura del/la partecipante, quali sono i miei obblighi durante lo studio Operetta2?	13
Quali sono i rischi associati alla partecipazione a Operetta2 e perché dovrei partecipare?	14
Sono previsti dei costi associati alla partecipazione a Operetta2?	14
Sono interessato/a, chi devo contattare?	15

Definizione della SM

La sclerosi multipla (SM) è una malattia **autoimmune** imprevedibile, a volte invalidante, che colpisce il sistema nervoso.

Nelle persone affette da SM, il sistema immunitario dell'organismo attacca e danneggia una sostanza grassa che circonda e protegge i nervi, chiamata mielina.

Di conseguenza, gli impulsi (o messaggi) nervosi che vanno da e verso il cervello non sono chiari o sono interrotti, come un cavo elettrico sfilacciato che non funziona correttamente.

Autoimmune:
quando il sistema immunitario di qualcuno attacca il proprio corpo causando infiammazione

Anche i/le bambini/e e gli/le adolescenti si ammalano di SM!

- La maggior parte dei/delle bambini/e e degli/delle adolescenti affetti da SM presenta un tipo di SM chiamata *SM recidivante-remittente (SMRR)*
- La SMRR è il tipo più comune di SM ed è nota per avere periodi in cui sintomi nuovi o esistenti peggiorano (recidiva), seguiti da un periodo di recupero in cui i sintomi sono pochi o assenti (remissione)
- Durante le recidive della SMRR, il sistema immunitario attacca le fibre nervose e causa infiammazione (o gonfiore) causando i sintomi della SM



Come viene trattata la SM?

- Non esiste una cura per la SM. L'obiettivo degli attuali trattamenti è ridurre il numero di recidive e aiutare a tenere i sintomi sotto controllo
- Alcuni trattamenti possono essere prescritti a bambini/e e adolescenti che convivono con la SM, ma sono necessarie più opzioni per aiutare a controllare meglio le recidive e consentire a bambini/e e adolescenti di partecipare pienamente alle attività giornaliere
- Gli studi di ricerca clinica fanno parte del processo per identificare e rendere disponibili nuove opzioni di trattamento per bambini/e e adolescenti

Sintomi comuni



Sensazione di stanchezza o debolezza



Sensazione di formicolio



Capogiri



Difficoltà di deambulazione o equilibrio



Intorpidimento



Difficoltà a pensare o ricordare



Sensazione di rabbia o tristezza senza motivo



Offuscamento della vista

Che cos'è uno studio di ricerca?

- Prima che un nuovo medicamento possa essere somministrato a bambini o adolescenti, un team di medici e ricercatori deve assicurarsi che il medicamento sia sicuro e funzioni. Per accertarlo, compiono “studi di ricerca” o “studi”
- Gli studi di ricerca su un nuovo farmaco (noto anche come “farmaco dello studio”) sono condotti in **tre fasi**:



Fase I



Fase II



Fase III

Nella **Fase I**, il farmaco dello studio viene somministrato a volontari/e adulti/e sani/e per accertare che sia sicuro

Nella **Fase II**, il farmaco dello studio viene somministrato a volontari che presentano la malattia (ad esempio, la SM) per la quale viene prodotto il farmaco dello studio

Nella **Fase III**, il farmaco dello studio viene somministrato a un numero ancora maggiore di persone in Paesi diversi che convivono con la malattia per verificarne l'efficacia nel trattamento e confrontarlo con altri farmaci per questa malattia

Tutti gli studi di ricerca devono seguire regole rigorose per garantire la sicurezza dei/delle volontari/e e un gruppo di esperti/e deve assicurarsi che siano rispettate tutte le regole.

Che cos'è lo studio Operetta2?

Operetta2 è uno studio di fase III condotto in Paesi di tutto il mondo. Lo scopo di questo studio è confrontare gli effetti, positivi o negativi, del farmaco dello studio rispetto al farmaco di confronto nel trattamento della sclerosi multipla recidivante-remittente (SMRR) in bambini/e e adolescenti.

Chi parteciperà allo studio?

- **171 bambini/e e adolescenti** di tutto il mondo affetti da SMRR
- Età compresa tra 10-17 anni



Quali sono i farmaci dello studio e come funzionano?

Ocrelizumab e fingolimod sono medicinali che riducono temporaneamente l'infiammazione causata dal sistema immunitario e hanno lo scopo di ridurre la frequenza delle recidive.

Farmaci dello studio

Ocrelizumab



può essere prescritto per il trattamento della SM **solo negli adulti**

Fingolimod



può essere prescritto per il trattamento della SMRR nei/le bambini/e di età **pari o superiore a 10 anni**

Quale trattamento dello studio riceverò?

In questo studio, ti verranno somministrati due medicinali dello studio:

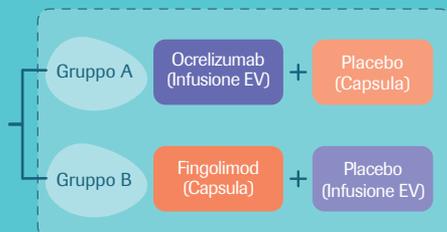
- uno “vero” (ocrelizumab o fingolimod)

E

- uno “finto” che assomiglia a quello vero ma non contiene alcun farmaco attivo; questo medicamento è chiamato **placebo**

Un placebo è un medicamento finto che non contiene alcun ingrediente attivo

Se il medico dello studio conferma che puoi partecipare in sicurezza allo studio, sarai inserito/a in uno dei due gruppi di trattamento (Gruppo A o B) “in modo casuale” o “a sorte”.



Come dovrei prendere i farmaci dello studio?

Indipendentemente dal gruppo di trattamento (A o B) a cui appartieni, ti verrà somministrato il farmaco dello studio in due modi:

- **Ocrelizumab (o placebo): infusione EV** durante una visita dello studio presso la clinica circa una volta ogni 6 mesi
- **Fingolimod (o placebo): capsule** (come le pillole) prese ogni giorno a casa

Indipendentemente dal gruppo di cui farai parte, riceverai il trattamento attivo

Ocrelizumab o placebo (Infusione EV)



Prima dose

- **Somministrata in due parti** (la 1^a metà della dose il Giorno 1 e la 2^a metà della dose 2 settimane dopo)

Dosi successive

- Dose completa somministrata una volta ogni **6 mesi**

Fingolimod o placebo (Capsule)



Prima dose

- Presa per bocca in clinica (una capsula)

Dosi successive

- Prese per bocca a casa **ogni giorno** (una capsula)

Infusione endovenosa (EV):
quando un medicamento
ti viene somministrato
lentamente nel braccio

Che cosa succede durante lo studio Operetta2?

Lo studio Operetta2 si compone di quattro parti:

Screening

Per vedere se puoi partecipare in sicurezza allo studio

Trattamento Parte 1

Sarai arruolato/a nello studio e inserito/a in uno dei due gruppi di trattamento (Gruppo A o Gruppo B) e riceverai ocrelizumab o fingolimod

Trattamento Parte 2

È una parte facoltativa dello studio Operetta2 in cui ti verrà somministrato **solo ocrelizumab** se è la scelta migliore per te

Follow-up

È utilizzato per controllare le tue condizioni di salute una volta completato il tuo trattamento dello studio

Prima che tu possa partecipare allo studio, a te e ai tuoi genitori/alle persone che si prendono cura di te sarà chiesto di leggere e firmare il **Modulo di consenso informato (Informed Consent Form, ICF)** e il **Modulo di assenso**. Si tratta di documenti importanti!

Procedura di consenso/assenso informato

L'ICF e l'assenso devono essere firmati prima che venga eseguita qualsiasi procedura dello studio.

Questa procedura garantirà che:

- Tu e i tuoi genitori/le persone che si prendono cura di te avrete compreso tutte le informazioni sulla partecipazione allo studio
- Ti verrà data l'opportunità di fare domande prima di prendere una decisione riguardo alla partecipazione

La partecipazione a uno studio di ricerca è una decisione importante per qualsiasi famiglia ed è una **tua scelta**.

Prenditi tutto il tempo necessario per decidere se questo studio è adatto a te e alla tua famiglia.

Durante la Parte 1 del trattamento, né tu, né i tuoi genitori/la persona che si prende cura di te, né il medico dello studio saprete a quale gruppo di trattamento sei stato/a assegnato/a. Il medico dello studio potrà scoprire a quale gruppo di trattamento sei stato/a assegnato/a se c'è preoccupazione per la tua sicurezza

Puoi decidere di smettere di partecipare allo studio in qualsiasi momento e per qualsiasi motivo!

Screening

Questa procedura inizia una volta firmato l'ICF/Assenso e può durare fino a **10 settimane**.

Il medico dello studio controllerà per assicurarsi che lo studio sia adatto/a a te. Sarai sottoposto/a ad alcuni esami e procedure per essere sicuri che tu possa partecipare allo studio e per controllare che sia sicuro per te.

Criteria principali per partecipare



Moduli ICF/Assenso firmati



Età compresa tra 10-17 anni



Diagnosi confermata di SMRR



Capacità di sottoporsi alla risonanza magnetica (RM)

Esami e procedure



Storia medica



Esame obiettivo



Domande sulla malattia



Scansione RM del cervello



Esame degli occhi



Valutazione del modo in cui il cervello elabora le informazioni



Esami del sangue



Esami delle urine



Radiografia del polso/della mano (facoltativa)

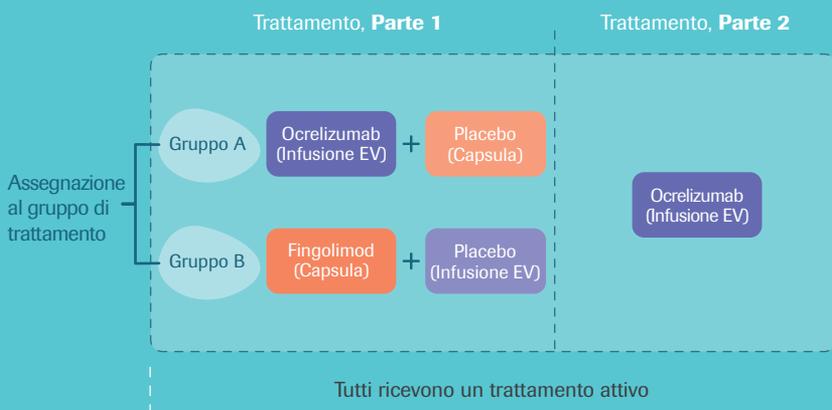
Trattamento Parte 1:

- Sarai inserito/a in un gruppo di trattamento e riceverai ocrelizumab o fingolimod
- Indipendentemente dal gruppo di cui farai parte, riceverai anche un **placebo**
- La Parte 1 dello studio durerà almeno 6 mesi, ma potrebbe durare più a lungo
- Alla fine della Parte 1, ti verrà detto quale farmaco dello studio hai ricevuto

Trattamento Parte 2:

- In questa parte dello studio, riceverai solo ocrelizumab
- Ogni 6 mesi (due volte all'anno) dovrai presentarti alla clinica dello studio per ricevere un'infusione di ocrelizumab
- La Parte 2 dello studio durerà circa 3 anni, ma potrebbe durare più a lungo

La Parte 2 del trattamento è facoltativa



Durante le Parti 1 e 2 del trattamento, dovrai presentarti alla clinica dello studio almeno 6 volte all'anno. A ogni visita, dovrai sottoporerti ad alcuni esami e procedure simili a quelli eseguiti durante lo screening.

Visite previste durante le Parti 1 e 2 del trattamento



Visita dello studio

2 settimane prima dell'infusione EV (1-2 ore)



Visita dello studio

dell'infusione EV (3-7 ore)



Telefonata 1 giorno dopo l'infusione EV e mensilmente



Visita dello studio ogni 3 mesi (3-7 ore)

Follow-up

Se hai ricevuto ocrelizumab durante la Parte 1 o 2 del trattamento e interrompi l'assunzione di ocrelizumab, continuerai a sottoporerti alle visite dello studio per controllare come stai.

Il follow-up durerà 1 anno a partire dalla tua ultima infusione di ocrelizumab. Potrebbe durare più a lungo se il medico dello studio vorrà continuare a controllare che tu stia bene.

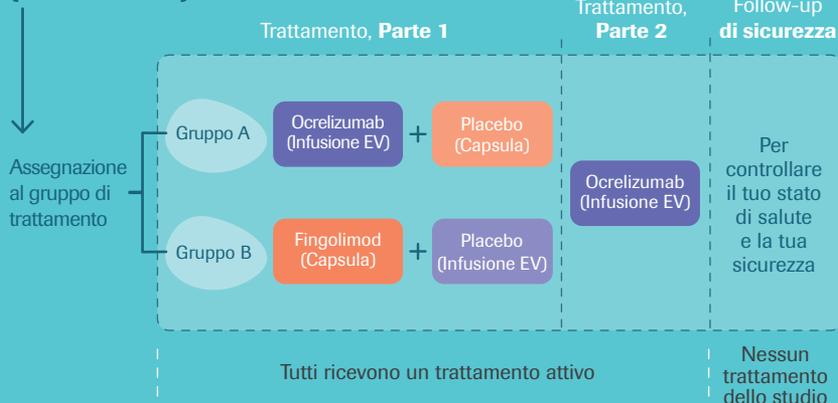
Durante queste visite, dovrai sottoporerti a esami simili a quelli eseguiti durante le Parti 1 e 2 del trattamento. Il tuo medico ti parlerà delle tue scelte di trattamento dopo che avrai interrotto ocrelizumab.



Quanto dura lo studio Operetta2?

Rimarrai nello studio per **almeno 6 mesi**, ma potresti rimanere più a lungo se decidi di partecipare alla Parte 2.

171 bambini/e e adolescenti
(10-17 anni di età)



← **La durata totale dello studio è di almeno 6 mesi e fino a 4 anni e mezzo (o più)** →

Che cosa succede se compio 18 anni durante lo studio?

Se compi 18 anni durante lo studio Operetta2, puoi completare tutte le parti dello studio.

In qualità di genitore/persona che si prende cura del/la partecipante, quali sono i miei obblighi durante lo studio Operetta2?

- Durante questo studio, se ha fornito il suo consenso, le sarà chiesto di presentarsi alla clinica dello studio con suo/a figlio/a circa una volta ogni 6 mesi durante le Parti 1 e 2, per compilare alcuni questionari
- Dovrà informare il medico dello studio se suo/a figlio/a dovesse manifestare eventuali cambiamenti nello stato di salute, nelle cure o nei farmaci.
Ad esempio:
 - Nuovi sintomi o sintomi che peggiorano
 - Variazioni nei farmaci
 - Visite presso un altro medico o ospedale
- Si assicuri che suo/a figlio/a non partecipi a nessun altro studio di ricerca



Quali sono i rischi associati alla partecipazione a Operetta2 e perché dovrei partecipare?

- I medici non sanno se questo studio ti farà stare meglio. Se partecipi allo studio, potresti stare meglio oppure rimanere come sei o peggiorare

Sarai monitorato/a attentamente per tutta la durata dello studio dal medico dello studio per eventuali effetti collaterali

- Le informazioni ottenute da questo studio aiuteranno i/le bambini/e e gli/le adolescenti che convivono con la SM in futuro e aiuteranno i professionisti sanitari a ottenere maggiori informazioni sul farmaco dello studio e sul trattamento della SMRR nei/nelle bambini/e e negli/nelle adolescenti (10-17 anni di età)
- La partecipazione a questo studio potrebbe comportare rischi o effetti collaterali. Tu e i tuoi genitori o la persona che si prende cura di te sarete informati dei rischi e dei benefici prima che tu prenda una decisione sulla partecipazione

Sono previsti dei costi associati alla partecipazione a Operetta2?

- Non dovrai sostenere alcuna spesa per i farmaci dello studio durante la partecipazione a Operetta2
- Inoltre, tutte le procedure necessarie per la partecipazione allo studio e che non fanno parte delle tue cure mediche abituali ti saranno fornite gratuitamente

Sono interessato/a, chi devo contattare?

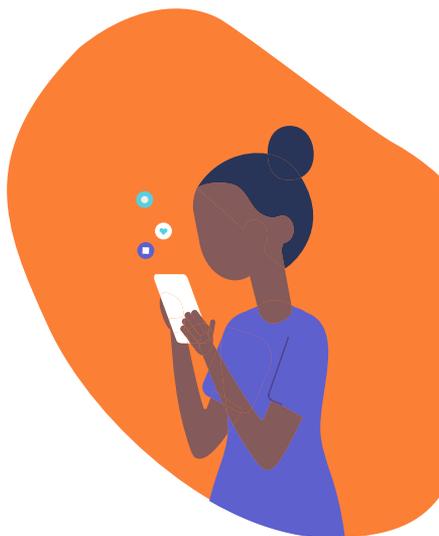
Se sei interessato/a a saperne di più o se qualcuno che conosci potrebbe voler prendere in considerazione la possibilità di partecipare allo studio Operetta2, contatta il personale dello studio.

Recapiti del personale dello studio Operetta2

Nome e cognome:

Indirizzo:

Numero di telefono:



Operetta²