

# Operetta2



**Et klinisk  
forskningsforsøg for  
børn og teenagere med  
multipel sklerose (MS)**



# Indholdsfortegnelse

Definition af MS	2
Børn og teenagere får også MS!	2
Hvordan behandles MS?	3
Hvad er et forskningsforsøg?	4
Hvad er Operetta2-forsøget?	5
Hvad er forsøgslægemidlerne, og hvordan virker de?	6
Hvor længe varer Operetta2-forsøget?	12
Hvad er mine forpligtelser som forælder/omsorgsgiver under Operetta2-forsøget?	13
Hvilke risici er der forbundet med at deltage i Operetta2-forsøget, og hvorfor skal jeg overveje at deltage?	14
Er der nogen omkostninger forbundet med at deltage i Operetta2?	14
Jeg er interesseret; hvem skal jeg kontakte?	15

# Definition af MS

Multipel sklerose (MS) er en uforudsigelig, undertiden invaliderende, **autoimmun** sygdom, der påvirker nervesystemet.

Hos personer, der lever med MS, angriber og beskadiger kroppens immunsystem et fedtholdigt stof, der omgiver og beskytter nerverne, kaldet myelin. Som følge heraf er nerveimpulser (eller meddelelser), der bevæger sig til og fra hjernen, uklare eller afbrudte, som flossede elektriske ledninger, der ikke fungerer korrekt.

**Autoimmun:**  
når en persons  
immunsystem angriber  
hans/hendes egen  
krop og forårsager  
inflammation

## Børn og teenagere får også MS!

- De fleste børn og teenagere med MS har en type MS kaldet *recidiverende-remitterende MS (RRMS)*
- RRMS er den mest almindelige type MS og er kendetegnet ved perioder, hvor nye eller eksisterende symptomer forværres (recidiv/tilbagefald) efterfulgt af en periode med bedring, hvor der kun er få eller ingen symptomer til stede (remission)
- Under tilbagefald af RRMS angriber immunsystemet nervefibrene og forårsager inflammation (eller hævelse), som fører til MS-symptomer



# Hvordan behandles MS?

- Der er ingen helbredelse for MS. Målet med de nuværende behandlinger er at reducere antallet af tilbagefald og hjælpe med at holde symptomerne under kontrol
- Nogle behandlinger kan ordineres til børn og teenagere, der lever med MS, men der er behov for flere muligheder for at kontrollere tilbagefald og lade børn og teenagere deltage fuldt ud i daglige aktiviteter
- Kliniske forskningsforsøg er en del af processen, som har til formål at identificere og gøre nye behandlingsmuligheder tilgængelige for børn og teenagere

## Almindelige symptomer



Følelse af træthed eller svaghed



Prikkende fornemmelse



Svimmelhed



Gangbesvær eller balancebesvær



Følelsesløshed



Problemer med tankevirksomhed eller hukommelse



At føle sig vred eller ked af det uden grund



Sløret syn

# Hvad er et forskningsforsøg?

- Før et nyt lægemiddel kan gives til børn eller teenagere, skal et team af læger og forskere sørge for, at lægemidlet er sikkert, og at det virker. For at gøre det, udfører de "forskningsforsøg" eller "studier"
- Forskningsforsøg med et nyt lægemiddel (også kaldet et "forsøgslægemiddel") udføres i **tre faser**:



**Fase I**



**Fase II**



**Fase III**

I **fase I** gives forsøgslægemidlet til raske voksne frivillige for at sikre, at det er sikkert

I **fase II** gives forsøgslægemidlet til frivillige, som har den sygdom (f.eks. MS), som forsøgslægemidlet er fremstillet til

I **fase III** gives forsøgslægemidlet til endnu flere mennesker i forskellige lande, som lever med sygdommen, for at se, hvor godt det virker til at behandle den, og sammenligne det med andre lægemidler til behandling af denne sygdom

**Alle forskningsforsøg skal følge strenge regler for at beskytte frivillige deltagere, så de er sikre, og en gruppe eksperter sørger for, at alle regler følges.**

# Hvad er Operetta2-forsøget?

**Operetta2** er et fase III-forsøg, der udføres i lande over hele verden. Formålet med dette forsøg er at sammenligne virkningerne, gode eller dårlige, af forsøgslægemidlet ocrelizumab versus fingolimod i behandlingen af RRMS hos børn og teenagere.

## Hvem deltager i forsøget?

- **171 børn og teenagere** fra hele verden, der har RRMS
- 10-17 år gamle



# Hvad er forsøgslægemidlerne, og hvordan virker de?

Ocrelizumab og fingolimod er lægemidler, der midlertidigt reducerer inflammationen forårsaget af immunsystemet og har til formål at reducere, hvor ofte der opleves tilbagefald.

## Forsøgslægemidler

### Ocrelizumab



kan kun ordineres til behandling af MS hos **voksne**

### Fingolimod



kan ordineres til behandling af RRMS hos børn på **10 år eller derover**

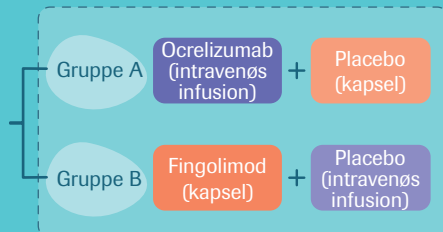
## Hvilken forsøgsbehandling vil jeg få?

I dette forsøg vil du få to forsøgslægemidler:

- et "rigtigt" (ocrelizumab eller fingolimod),
- OG**
- et "falsk", der ser ægte ud, men som ikke indeholder et aktivt lægemiddel. Dette kaldes en **placebo**

**En placebo er et uvirksomt lægemiddel, der ikke indeholder noget aktivt indholdsstof**

Hvis forsøgslægen bekræfter, at det er sikkert for dig at deltage i forsøget, vil du blive placeret i en af de to behandlingsgrupper (gruppe A eller B) "tilfældigt" eller "ved lodtrækning".





## Hvordan tages forsøgslægemidlerne?

Uanset hvilken behandlingsgruppe (A eller B) du er i, vil du få forsøgslægemidlet på to måder:

- **Ocrelizumab (eller placebo): Intravenøs infusion** under et forsøgsbesøg på klinikken ca. én gang hver 6. måned
- **Fingolimod (eller placebo): Kapsler** (som piller), der tages dagligt hjemme

*Uanset hvilken gruppe du er i, vil du modtage aktiv behandling*

### Ocrelizumab eller placebo (intravenøs infusion)



#### Første dosis

- **Gives i to dele** (1. halvdel af dosen på dag 1 og 2. halvdel af dosen 2 uger senere)

#### Efterfølgende doser

- Fuld dosis gives en gang hver **6. måned**

### Fingolimod eller placebo (kapsler)



#### Første dosis

- Tages gennem munden på klinikken (en kapsel)

#### Efterfølgende doser

- Tages derhjemme gennem munden **dagligt** (en kapsel)

**Intravenøs infusion:**  
når en medicin gives langsomt i armen

# Hvad sker der under Operetta2-forsøget?

Operetta2-forsøget består af fire dele:

## Screening

for at se, om det er sikkert for dig at deltage i forsøget

## Behandlingsdel 1

du vil blive tilmeldt forsøget og placeret i en af to behandlingsgrupper (gruppe A eller gruppe B), og du vil få ocrelizumab eller fingolimod

## Behandlingsdel 2

er en valgfri del af Operetta2-forsøget, hvor du **kun får ocrelizumab**, hvis det er det bedste valg for dig

## Opfølgning

bruges til at kontrollere din helbredstilstand, når din forsøgsbehandling er afsluttet

*I behandlingsdel 1 vil hverken du, din forælder/omsorgsgiver eller forsøgslægen vide, hvilken behandlingsgruppe du er i.*

*Forsøgslægen kan finde ud af, hvilken behandlingsgruppe du blev tildelt, hvis der er risiko for din sikkerhed*

Før du kan deltage i forsøget, vil du og dine forældre/omsorgsgivere blive bedt om at læse og underskrive den **informerede samtykkeerklæring** og **indforståelseserklæring**. Disse er vigtige dokumenter!

## Informeret samtykke/indforståelsesproces

Den informererede samtykkeerklæring og indforståelsen skal underskrives, før der kan udføres nogen forsøgsprocedurer.

Denne proces vil sikre, at:

- Du og dine forældre/omsorgsgivere forstår alle oplysninger om deltagelse i forsøget
- Muligheden for at stille spørgsmål, før du beslutter dig for at deltage

Deltagelse i et forskningsforsøg er en stor beslutning for enhver familie, og det er **dit valg**.

Tag al den tid, du har brug for til at beslutte, om dette forsøg er det rigtige for dig og din familie.

*Du kan stoppe din deltagelse i forsøget til enhver tid og af en hvilken som helst grund!*

# Screening

Denne proces starter, når samtykkeerklæringen/indforståelsen er underskrevet, og den kan vare op til **10 uger**.

Forsøgslægen vil kontrollere, at forsøget er det rigtige for dig. Du vil få foretaget nogle tests og procedurer for at sikre, at du kan deltage i forsøget, og for at kontrollere, om det er sikkert for dig.

## Vigtige kriterier for deltagelse



Underskrevet samtykkeerklæring/indforståelsesformular



10-17 år gamle



Bekræftet diagnose af RRMS



I stand til at få taget en MR-scanning

## Tests og procedurer



Sygehistorie



Helbredsundersøgelse



Spørgsmål om sygdom



MR-scanning af hjernen



Øjenundersøgelse



Test af, hvor godt din hjerne behandler oplysninger



Blodprøver



Urinprøver



Røntgenbillede af håndled/hånd (valgfrit)

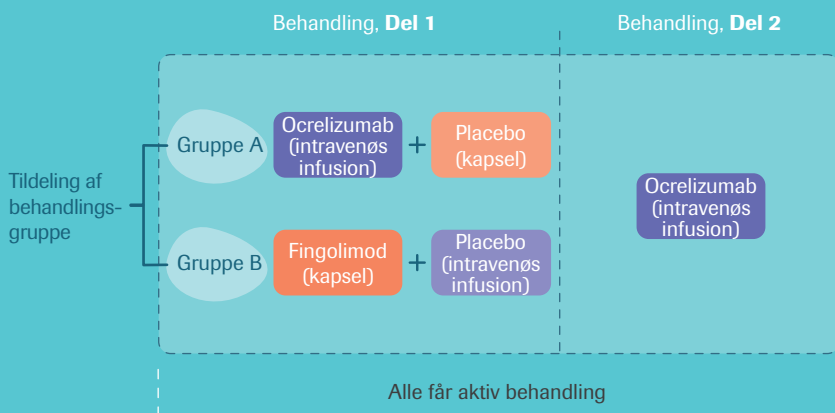
## Behandlingsdel 1:

- Du vil blive placeret i en behandlingsgruppe og modtage enten ocrelizumab eller fingolimod
- Uanset hvilken gruppe du er i, skal du også tage en **placebo**
- Del 1 af forsøget vil vare mindst 6 måneder, men kan være længere
- Ved slutningen af del 1 vil du få at vide, hvilket forsøgslægemiddel du fik

## Behandlingsdel 2:

- I denne del af forsøget vil du kun få ocrelizumab
- Hver 6. måned (to gange om året) skal du besøge forsøgsklinikken for at få en infusion af ocrelizumab
- Del 2 af forsøget vil vare ~ 2 år, men kan være længere

**Behandlingsdel 2 er valgfri**



**Under behandlingsdel 1 og 2 skal du besøge forsøgsklinikken mindst 6 gange om året. Ved hvert besøg vil du få foretaget nogle tests og procedurer, der ligner dem, du fik udført under screening.**

## Forventede besøg under behandlingsdel 1 og 2



### **Forsøgsbesøg**

2 uger før  
intravenøs  
infusion  
(1-2 timer)



### **Intravenøs infusion**

forsøgsbesøg  
(3-7 timer)



### **Telefonopkald**

1 dag efter  
intravenøs  
infusion og  
månedligt



### **Forsøgsbesøg**

hver 3. måned  
(3-7 timer)

## Opfølgning

Hvis du har fået ocrelizumab i behandlingsdel 1 eller 2, og du holder op med at få ocrelizumab, vil du fortsætte med forsøgsbesøg for at kontrollere, hvordan du har det.

Opfølgning vil vare i 1 år fra din sidste infusion af ocrelizumab. Dette kan være længere, hvis din forsøgslæge ønsker at fortsætte med at kontrollere, at du har det godt.

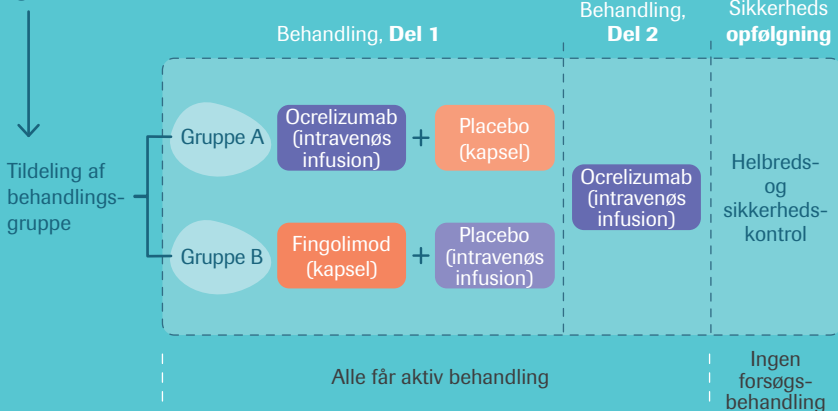
Under disse besøg vil du få taget lignende tests som dem, der blev udført under behandlingsdel 1 og 2. Din læge vil tale med dig om dine behandlingsmuligheder efter at have stoppet ocrelizumab.



# Hvor længe varer Operetta2-forsøget?

Du vil deltage i forsøget i **mindst 6 måneder**, men det kan vare længere, hvis du beslutter dig for at deltage i del 2.

171 børn og  
teenagere  
(10-17 år  
gamle)



← Forsøgets samlede varighed er mindst 6 måneder og op til fire et halvt år (eller længere) →

## Hvad sker der, hvis jeg fylder 18 år under forsøget?

Hvis du fylder 18 år, mens du deltager i Operetta2-forsøget, kan du gennemføre alle dele af forsøget.

# Hvad er mine forpligtelser som forælder/omsorgsgiver under Operetta2-forsøget?

- Hvis du gav dit samtykke, vil du i løbet af dette forsøg blive bedt om at komme til forsøgsklinikken med dit barn cirka hver 6. måned i del 1 og 2 for at udfylde nogle spørgeskemaer
- Du skal fortælle forsøgslægen, hvis dit barn oplever ændringer i sit helbred, sin behandling eller sin medicin. Såsom:
  - Nye symptomer eller symptomer, der forværres
  - Ændringer i medicin
  - Besøg hos en anden læge eller et andet hospital
- Sørge for, at dit barn ikke deltager i andre forskningsforsøg



# Hvilke risici er der forbundet med at deltage i Operetta2-forsøget, og hvorfor skal jeg overveje at deltage?

- Lægerne ved ikke, om dette forsøg vil gøre dig bedre. Hvis du deltager i forsøget, kan du muligvis få det bedre, hverken få det bedre eller værre, eller få værre
- Oplysningerne fra dette forsøg vil hjælpe børn og teenagere med MS i fremtiden og vil hjælpe sundhedsprofessionelle med at lære mere om forsøgslægemidlet og behandlingen af RRMS hos børn og teenagere (10-17 år gamle)
- Der kan være risici eller bivirkninger forbundet med at deltage i dette forsøg. Du og dine forældre eller din omsorgsgiver vil blive informeret om disse risici og fordele, før du træffer en beslutning om at deltage

***Du vil blive nøje overvåget under hele forsøget af forsøgslægen for eventuelle bivirkninger***

## Er der nogen omkostninger forbundet med at deltage i Operetta2?

- Du skal ikke betale for forsøgslægemidlerne, mens du deltager i Operetta2
- Derudover vil alle procedurer, som er nødvendige for deltagelse i forsøget, og som ikke er en del af din almindelige lægebehandling, blive stillet gratis til rådighed



# Jeg er interesseret; hvem skal jeg kontakte?

Hvis du er interesseret i at høre mere, eller hvis du eller nogen, du kender, måske vil overveje at deltage i Operetta2-forsøget, bedes du kontakte forsøgspersonalet.

## Operetta2-forsøgspersonalets kontaktoplysninger

---

Navn:

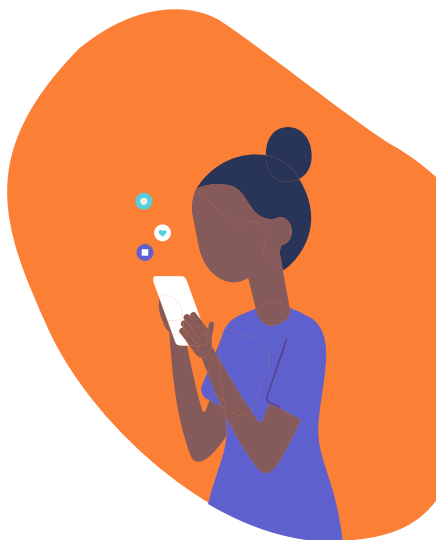
---

Lokalitet:

---

Telefonnummer:

---







# Operetta<sup>2</sup>