

Trumpa informacija apie klinikinį tyrimą “AK581”

Tyrimo pavadinimas:	CONSERVE (angl. rVA576 (Coversin) Long Term Safety and Efficacy Surveillance Study) - rVA576 (koversino) ilgalaikio saugumo ir veiksmingumo stebėjimo tyrimas
Tyrime gali dalyvauti šie pacientai	Pacientai, sergantys ligomis, kurias gydant reikalingas komplemento slopinimas, kurie anksčiau dalyvavo Akari klinikinčiuose tyrimuose ir, baigę aktyvų dalyvavimą pirmesniame tyrime, nori toliau vartoti rVA576 (koversiną), ir pacientai, kurie buvo gydyti rVA576 (koversinu) kaip vilties vaistu ar pagal eksperimentinio vaisto vartojimo programą, kurie nori ir toliau gydytis rVA576 (koversinu)
Tyrime negali dalyvauti šie pacientai	<ul style="list-style-type: none"> • Pacientas, patyręs bet kokį saugumo įvykį gydant pagal ankstesnį tyrimo protokolą, dėl kurio pacientui kyla nepriimtina rizika pagal dabartinį protokolą. • Aktyvi meningokokinė infekcija. • Bet kuri kita priežastis, dėl kurios, tyrėjo nuomone, tolimesnis gydymas rVA576 (koversinu) neatitiktų paciento interesų. • Jeigu moteriškos lyties tiriamoji pastojo ar žindo kūdikį arba planuoja pastoti prieš tyrimą, tyrimo metu arba per 90 dienų po paskutiniosios dozės suvartojimo arba per šį laikotarpį ketina paaukoti kiaušialąsčių. • Jeigu tyrimo metu arba per 90 dienų po paskutiniosios dozės suvartojimo vyriškos lyties tiriamasis ketina paaukoti spermos. • Kai kurių vaistinių preparatų vartojimas (pvz.: ekulizumabo, chemoterapinių preparatų, bet kokių kitų vaistų, kurie tiesiogiai veikia komplemento sistemą). • Per vienerių metų iki atrankos laikotarpį tiriamasis piktnaudžiavo narkotinėmis medžiagomis (apibrėžiamas kaip bet koks neteisėtas narkotinių medžiagų vartojimas) arba alkoholiu. • Dalyvavimas kituose klinikinčiuose tyrimuose, kuriuose vartojamas tiriamasis produktas. • Bet kokia psichologinė, šeimatinė, socialinė ar geografinė situacija, dėl kurios, pacientas negalėtų laikytis tyrimo protokolo ir būti stebimas ilgą laiką.
Tiriami vaistai	rVA576 (koversinas)
Pastaba	VULSK HOTC į studiją įtraukiami tik PNH sergantys pacientai

Santrumpos

PNH – paroksizminė naktinė hemoglobinurija.
aHUS – atipinis hemolizinis ureminis sindromas.
RVA576 (koversinas) – tiriamasis vaistinis preparatas.

Bendra informacija

Prieš naują vaistą registruojant ir leidžiant vartoti žmonėms, būtina nustatyti jo saugumą bei veiksmingumą. Tai padaroma atliekant mokslinius (ar klinikinius) tyrimus, tokius kaip šis. Klinikiniai tyrimai atliekami siekiant surasti naujus tam tikrų ligų gydymo būdus, kai tam dar neturima pakankamai informacijos. Todėl pagrindinis klinikinio tyrimo tikslas yra surinkti žinių apie naujus tam tikrų ligų gydymo būdus, kurie gali skirtis nuo įprastos klinikinės praktikos.

PNH ir aHUS yra sunkios, įgytos kraujo ligos, kuriomis sergant išnyksta organizmo ląstelių atsparumas imuninės sistemos dalies, vadinamos komplemento sistema, poveikiui. Komplemento sistemą sudaro daug kraujyje cirkuliuojančių komplemento faktorių, kurių paskirtis infekcijos atveju yra padėti kovoti su bakterijomis arba virusais. Įprastomis aplinkybėmis organizmo ląstelės būna apsaugotos nuo suaktyvintos komplemento sistemos poveikio. Sergant PNH, suaktyvinta komplemento sistema pažeidžia sergančiojo kraujo ląsteles. Sergant aHUS, sutrikus komplemento sistemos reguliacijai, įvairių organų smulkiosiose kraujagyslėse formuojasi ir jas pažeidžia kraujo krešuliai, pasireiškia sunkūs ligos simptomai.

Šio tyrimo metu tyrimo gydytojas kartu su tyrimą užsakiusia bendrove „Akari Therapeutics Plc“ siekia išsiaiškinti ilgą laiką vartojamo rVA576 (koversino) saugumą ir veiksmingumą PNH ir aHUS sergantiems pacientams. Tyrimas atliekamas užsakovo „Akari Therapeutics Plc“ vardu.

Šiam tyrimui pritarė Lietuvos Bioetikos komitetas (LBEK) ir Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba (VVKT).

Tyrimo tikslas

Mokslinis-tiriamasis tyrimo tikslas – gauti naujų medicinos mokslo žinių, kurios ateityje padėtų kitų šia liga sergančių pacientų sveikatai. Kitaip tariant, pagrindinis šio tyrimo tikslas nėra tiesioginė nauda dalyvaujančio paciento sveikatai.

Šio tyrimo tikslas yra parodyti ilgą laiką vartojamo rVA576 (koversino) (toliau vadinamo tiriamuoju vaistiniu preparatu) saugumą ir veiksmingumą paroksizmine naktine hemoglobinurija (PNH) arba atipiniu hemoliziniu ureminiu sindromu (aHUS) sergantiems tiriamiesiems asmenims, kurie, prieš pradėdami dalyvavimą šiame tyrime, tiriamąją vaistinį preparatą vartojo kituose klinikiniuose tyrimuose. Šis tyrimas atliekamas, siekiant įvertinti, ar tiriamasis vaistinis preparatas gerai veikia ir yra saugus, jo ilgą laiką skiriant sergantiesiems PNH ir aHUS.

Į tyrimą yra kviečiami pacientai, kurie anksčiau dalyvavo „Akari Therapeutics Plc“ atliktuose tyrimuose, kuriuose dėl tiriamiems pacientams nustatytos PNH arba aHUS buvo skirtas tas pats tiriamasis vaistinis preparatas, kuris bus skiriamas šiame tyrime. Šio tyrimo tiriamasis vaistinis preparatas yra rVA576 (koversinas).

Tiriamas vaistas: rVA576 (koversinas)

Tiriamasis vaistinis preparatas yra kuriamas PNH, aHUS ir kitoms su komplemento poveikiu susijusioms ligoms gydyti. Tiriamasis vaistinis preparatas yra mažas vartoti po oda injekcijomis skiriamas baltymas, kuris veikia slopindamas vieną ląstelių pažeidimą lemiančių komplemento sistemos faktorių ir neturi poveikio kitoms komplemento sistemos dalims. Sergantiesiems PNH jis gali padėti sumažinti kraujo ląstelių pažeidimą, o sergantiesiems aHUS jis gali sumažinti kraujo krešulių formavimąsi. Tiriamojo vaistinio preparato vartojimas neišgydys PNH arba aHUS, bet gali palengvinti simptomus.

rVA576 yra eksperimentinis vaistas, kurio nėra registravusi jokia už vaistinių preparatų saugumo ir veiksmingumo nustatymą atsakinga valstybinė institucija.

Dalyvavimas tyrime

Atranka

Šio etapo metu tyrimo gydytojas atlieka tyrimus ir peržvelgia paciento ligos istorijoje esančią informaciją, siekdamas sužinoti, ar jis gali dalyvauti tyrime. Jei šie tyrimai parodys, kad pacientas dalyvauti gali, jis pereina į kitą etapą, kuris vadinamas tęstinio tiriamojo vaistinio preparato vartojimo etapu.

Pirmuosius 3 mėnesius tyrimo centre pacientas lankysis vieną kartą per mėnesį, o vėliau, visu likusiu tyrimo laikotarpiu į tyrimo centrą reikės atvykti kas tris mėnesius. Tai bus planiniai tyrimo vizitai.

Tęstinis tiriamojo vaistinio preparato vartojimas

Pacientas tęsia tiriamojo vaistinio preparato vartojimą ta pačia doze ir tuo pačiu dažnumu kaip ankstesniame tyrime. Tiriamojo vaistinio preparato dozė privalo būti vartojama vieną arba du kartus per dieną nustatytu laiku, atliekant injekciją po oda, priklausomai nuo paskirto vartojimo režimo. Tyrimo gydytojas su pacientu aptaria, jei būtina keisti paskirto tiriamojo vaistinio preparato dozės vartojimo dažnumą ar pačią dozę. Pacientas gauna spausdintiną instrukcijų egzempliorių, taip pat gali gauti demonstracinę vaizdo medžiagą, kaip savarankiškai atlikti tiriamojo vaistinio preparato injekciją. Tyrimas suplanuotas taip, kad jame dalyvaujantis pacientas turėtų kuo daugiau laisvės savarankiškai atlikti injekcijas ir užsiimti kasdiene veikla. Pacientas kasdien pildo dienyną, kuriame žymima vieta, į kurią sušvirkšta injekcija, sušvirkšta dozė ir injekcijos atlikimo laikas. Paciento taip pat prašoma pranešti apie bet kokius jo vartojamų vaistų ir sveikatos pokyčius, taip pat dienyne nurodyti bet kokius susirgimus ir pažymėti injekcijos vietoje pasireiškusias reakcijas, jei tokių kiltų.

Tyrime dalyvaujančio paciento patogumui, tiriamojo vaistinio preparato flakonai gali būti pristatomi jam į namus, o aštrios atliekos (tokios kaip adatos ir švirkštai) paimamos iš jo namų. Tokiu atveju naudojamosi kurjerio paslaugomis.

Tiriamojo vaistinio preparato numatyta skyrimo trukmė - iki 4 metų. Pacientai, kuriems šio tyrimo metu bus įrodytas rVA576 (koversinas) veiksmingumas ir kurie norės tęsti gydymą šiuo vaistu užbaigus šį tyrimą, patvirtinus atitinkamai vyriausybinei agentūrai, galės toliau vartoti rVA576 (koversiną) tol, kol rVA576 (koversinas) bus registruotas arba atsiras kitas naudingas gydymo būdas. Jeigu „Akari Therapeutics Plc“ kiltų kokių nors problemų, susijusių su

vaisto prieinamumu, tokiems pacientams ji sąžiningai ir etikos reikalavimus atitinkančiu būdu skirs turimą vaistą.

Stebėjimo etapas

Praėjus apytikriai 1 mėnesiui po paskutinės tiriamojo vaistinio preparato dozės pavartojimo, tyrime dalyvaujančiam pacientui reikia atvykti baigiamojo vizito į sveikatos priežiūros įstaigą. Šio vizito tikslas – įsitikinti preparato saugumu pacientui.

Galima nauda ir trūkumai

Galimas privalumas yra tai, kad tiriamasis vaistinis preparatas gali palengvinti PNH arba aHUS, bet nauda tyrime dalyvaujančiam pacientui nėra garantuojama. Dalyvavimo tyrime laikotarpiu pacientas gali daugiau sužinoti apie PNH arba aHUS. Šiame tyrime surinkta informacija gali tyrinėtojams padėti rasti naujų būdų būsimiems pacientams gydyti.

Kaip jau minėta anksčiau, tiriamasis vaistinis preparatas gali padėti raudonosioms kraujo ląstelėms išgyventi ilgiau nei įprastai ir palengvinti kitus PNH arba aHUS sukeltus simptomus, jei tokių pasireiškia.

Dalyvavimo tyrime trūkumai gali būti šie:

- Galimas rVA576 (koversino) nepageidaujamas poveikis ar komplikacijos;
- Papildomi vizitai ir ištyrimai;
- Dalyvaujant tyrime reikia laikytis tyrimo protokolu nustatytų reikalavimų.

Sutikimas dalyvauti/nedalyvauti tyrime

Tik pacientas sprendžia, ar dalyvauti tyrime. Dalyvavimas yra **savanoriškas**. Kompensacijos už dalyvavimą tyrime nėra, tačiau pateikus tinkamus kvitus, bus kompensuojamos pagrįstos kelionės ir maitinimosi kelionės metu patirtos išlaidos.

Pacientas, kurį numatoma įtraukti į AK581 tyrimą, susipažįsta ir pasirašo **Informuoto asmens sutikimą**, kuriame išsamiai paaiškinta tyrimo tikslas, principai, etapai, galima dalyvavimo žala bei nauda, tiriamojo vaistinio preparato – rVA576 (koversino) galimas šalutinis poveikis, informacija apie asmens duomenų tvarkymą, konfidencialumą, biologinių mėginių paėmimą ir jų saugojimą. Informuoto asmens sutikimo forma yra patvirtinta Lietuvos bioetikos komiteto (LBEK).

Sutikus dalyvauti tyrime, bet kada galima pakeisti savo nuomonę ir nutraukti dalyvavimą netgi tyrimo metu. Tuomet pacientas gali gauti standartinį ligos gydymą. Pacientas neturi paaiškinti atsisakymo dalyvauti priežasčių, tačiau privalo skubiai informuoti tyrėją apie savo sprendimą. Atšaukti sutikimą privaloma raštu.

Jei pacientas pageidauja, surinkti ėminiai po atsisakymo dalyvauti tyrime yra sunaikinami. Tyrimo metu jau atlikti tyrimo bei gydymo rezultatai nebus naikinami ir bus panaudoti, analizuojant visus tyrimo rezultatus.

Tyrimo metu asmens duomenys yra tvarkomi, vadovaujantis Lietuvos Respublikos teisės aktais.

Jeį pageidaujate daugiau informacijos apie dalyvavimą tyrime, prašome kreiptis į tyrimų centrą

Hematologijos, onkologijos ir transfuziologijos centras
VšĮ VUL Santaros klinikos
Santariškių g. 2, LT-08661, Vilnius
Tel. (8 688) 62160, el. paštas: kts-oh@santa.lt

Parengta pagal	
Protokolo numeris:	AK581
EudraCT numeris:	2016-004129-18
Užsakovo pateikta IASF sutikimo formą anglų kalba, data, versija:	Akari Therapeutics AK581 Patient Information Sheet and Informed Consent Form, English version V3.0 Data: 2019 sausio 16
IASF sutikimo formos pavadinimas lietuvių kalba, data, versija:	Akari Therapeutics AK581 Asmens informavimo ir informuoto asmens sutikimo forma V2.0 Data: 2019 vasario 11