

Trumpa informacija apie klinikinį tyrimą “OP-103”

Tyrimo pavadinimas:	Atsitiktinių imčių, kontroliuojamas, atviras, III fazės, melflufeno/deksametazono palyginimo su pomalidomidu/deksametazonu tyrimas pacientams, kuriems pasireiškė gydymui atsparios dauginės mielomos atkrytis, kai gydymas lenalidomidu buvo neveiksmingas
Tyrime gali dalyvauti šie pacientai	Pacientai, kuriems, diagnozuota dauginė mieloma ir kuriems anksčiau šiai ligai kontroliuoti buvo skirti vaistai, priklausantys proteosomos inhibitorių klasei – tokie kaip bortezomibas, karfilzomibas arba iksazomibas ir per pastaruosius 18 mėnesių skirtas gydymas lenalidomidu (vaistu-imunomoduliatoriumi).
Tyrime negali dalyvauti šie pacientai	<ul style="list-style-type: none"> • Atspari gydymui liga (anksčiau nebuvo gautas atsakas į nei vieną taikytą gydymą). • Trombocitai nekyla daugiau 10x10⁹/L net po trombocitų transfuzijos. • Reikšminga gretutinė patologija (sunki širdies, kepenų, inkstų liga, neišgydyta infekcija, aktyvus ir aktyvus hepatito B arba C virusas). • Pacientas anksčiau vartojo Pomalidomidą. • Pacientas anksčiau yra vartojęs vaistą-imunomoduliatorių ir jo netoleravo. • Anksčiau taikytas gydymas citotoksinais vaistais, įskaitant mielomos gydymą citotoksinais vaistais. • Aktyvus antrinis piktybinis navikas (išskyrus odos bazinių ar plokščių ląstelių karcinomą, gimdos kaklelio karcinomą in situ, krūties karcinomą in situ bei atsitiktinai histologiškai nustatytą prostatos karcinomą), • Nėščiosios arba žindytės • Pacientui diagnozuota amiloidozė arba plazminių ląstelių leukemija, taip pat tie, kuriems diagnozuotas POEMS sindromas. • Skiepijimas gyvosiomis vakcinomis likus ne daugiau kaip 30 dienų iki atsitiktinės atrankos. • Vaisto-imunomoduliatoriaus, proteosomų inhibitoriaus arba kortikosteroidų vartojimas likus ne daugiau kaip 2 savaitėms iki atsitiktinės atrankos. • Likę reikšmingi pašaliniai reiškiniai po buvusio mielomos gydymo. • Anksčiau taikyta kamieninių kraujodaros ląstelių transplantacija – likus ne daugiau kaip 12 savaičių iki atsitiktinės atrankos. • Aktyvi transplantato prieš šeimininką liga po anksčiau taikytos alogeninės kamieninių kraujodaros ląstelių transplantacijos. • Bet kokia psichologinė, šeiminė, socialinė ar geografinė situacija, dėl kurios, pacientas negalėtų laikytis tyrimo protokolo ir būti stebimas ilgą laiką.
Tiriami vaistai	Melflufenas

Santrumpos

POEMS sindromas – plazminių ląstelių diskrazija su polineuropatija, organomegalija, endokrinopatija, monokloniniais antikūnais ir odos pakitimais, dauginės mielomos rūšis.

DM – dauginė mieloma.

DNR – deoksiribonukleino rūgštis – ląstelės dauginimosi genetinis kodas.

Bendra informacija

Šio tyrimo tikslas yra palyginti melflufeno ir deksametazono veiksmingumą su pomalidomido ir deksametazono poveikiu, kai jie vartojami sergant daugine mieloma (DM).

Nežinoma, ar melflufeno, vartojamo kartu su deksametazonu, poveikis gali būti toks pat veiksmingas arba veiksmingesnis nei vartojant pomalidomidą kartu su deksametazonu. Dėl šios priežasties pacientams bus atsitiktiniu būdu (esant vienodai tikimybei) paskirtas melflufenas arba pomalidomidas kartu su deksametazonu.

„Oncopeptides“ yra pelno siekianti farmacijos įmonė (vadinama „tyrimą užsakančia įmone“ arba „užsakovu“), kuri kuria vaistinius preparatus ir vykdo klinikinius tyrimus. Tyrimo gydytojams ir sveikatos priežiūros įstaigai, kurioje bus vykdomas tyrimas, ji suteiks tyrimui vykdyti reikiamas lėšas.

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 pagrindinis tikslas yra palyginti laiką iki ligos progresavimo šiose grupėse – melflufenas plus deksametazonas (A grupė) ir pomalidomidas plus deksametazonas (B grupė). Gretutiniai tyrimo tikslai yra įvertinti ir palyginti dvi tiriamąsias grupes pagal šiuos rodiklius: atsako trukmę, bendrąjį išgyvenamumą, saugumą ir toleravimą. Taip pat bus vertinamas melflufeno skyrimo naudos ir saugumo santykis.

Tiriamieji vaistiniai preparatai: melflufenas, pomalidomidas ir deksametazonas

Melflufenas veikia surišdamas ir pažeisdamas DNR ląstelių viduje. Tokiu būdu gali būti sustabdytas vėžinių ląstelių augimas ir dauginimasis. Melflufenas patenka į vėžines ląsteles ir jose yra paverčiamas į melfalaną – vaistinį preparatą, kuris, kaip žinoma, yra aktyvus prieš dauginę mielomą. Manoma, kad vartojant melflufeną vėžinių ląstelių viduje susidarancio melfalano koncentracija būna didesnė, nei vartojant melfalaną. Šio klinikinio tyrimo metu bus vertinamas melflufeno veiksmingumas ir šalutinis poveikis daugine mieloma sergantiems pacientams.

Melflufenas yra šio tyrimo tiriamasis vaistinis preparatas. „Tiriamasis“ reiškia tai, kad jokia naujus vaistinius preparatus kontroliuojanti institucija, įskaitant Europos vaistų agentūrą ir

Lietuvos Respublikos valstybinę vaistų kontrolės tarnybą, dar nepatvirtino vaistinio preparato kaip tinkamo prekiauti. Tačiau anksčiau jis jau buvo išbandytas daugine mieloma sergantiems pacientams.

Pomalidomidas yra imunomoduliuojantis vaistinis preparatas, kuris veikia organizmo imuninę sistemą (organizmo gebėjimą kovoti su infekcijomis ir ligomis) ir sumažina vėžines ląsteles maitinančių kraujagyslių formavimąsi. Toks poveikis gali sustabdyti ar sulėtinti DM plitimą. Pomalidomidas buvo ištirtas ir jo tinkamumą DM gydyti patvirtino Lietuvos Respublikos valstybinė vaistų kontrolės tarnyba bei Europos vaistų agentūra.

Deksametazonas yra steroidas, skiriamas sergantiems DM ir kitomis ligomis. Jis taip pat veikia imuninę sistemą. Sergantiems DM deksametazonas dažnai skiriamas kartu su kitais vaistiniais preparatais ir gali pagerinti kai kurių vaistinių preparatų veikimą. Žinoma, kad pomalidomidas veikia geriau jį vartojant kartu su deksametazonu.

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.

Procedūros, kuriomis siekiama įvertinti paciento sveikatos būklę ir DM bei nustatyti, ar jis gali dalyvauti klinikiniame tyrime, vadinamos atrankos procedūromis.

Prieš pradėdant skirti tiriamąjį vaistinį preparatą, pacientas atsitiktiniu būdu būna priskirtas vienam iš toliau aprašytų tyrimo režimų. Prieš sutikdamas dalyvauti, pacientas pirmiausia turi sutikti su bet kuriuo jam priskirtu tyrimo režimu. Nei pacientas, nei tyrimo gydytojas negali pasirinkti ar keisti tyrimo režimo.

Tiriamojo vaistinio preparato vartojimas

Patekus į tyrimo A grupę, pacientui skiriamas melflufenas su deksametazonu.

Patekus į tyrimo B grupę, pacientui skiriamas pomalidomidas su deksametazonu. Šios grupės pacientai turės papildomai vartoti kraujo krešėjimą veikiančius vaistus.

Tiek A, tiek B grupėje gydymas skiriamas ciklais kas 28 dienas.

Gydymas pacientams bus skiriamas tol, kol bus dokumentuotas ligos progresavimas (patvirtinamas atlikus du vertinimus iš eilės), pasireikš nepriimtinas toksinis poveikis ar pacientas/gydantis gydytojas nuspręs, kad gydymo tęsimas nėra tinkamas pasirinkimas, kuris būtų naudingas pacientui.

Stebėjimas

Baigus tiriamojo vaistinio preparato vartojimą, paciento liga ir bendra sveikatos būklė bus stebima 2 metus. Tai bus vykdoma kiekvieną mėnesį, kol jo liga pablogės (progresuos) arba pacientas pradės naują kursą; tokiu atveju jo bendra sveikatos būklė bus vertinama kas tris mėnesius.

Galima nauda ir trūkumai

Galimas privalumas yra tai, kad dalyvaujant šiame tyrime daugine mieloma sergančio paciento sveikata gali pagerėti, tačiau tai nėra garantuojama. Pacientas gali nepatirti jokios tiesioginės naudos iš šio tyrimo. Šis tyrimas gali padėti kitiems žmonėms ateityje, jei bus nustatyta, kad tiriamasis vaistinis preparatas yra saugus ir veiksmingas.

Dalyvavimo tyrime trūkumai gali būti šie:

- Tiriamojo vaistinio preparato (melflufeno, pomalidomido ar deksametazono) 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 **savanoiškas**. Kompensacijos už dalyvavimą tyrime nėra, tačiau pateikus tinkamus kvitus, bus kompensuojamos pagrįstos kelionės ir maitinimosi kelionės metu patirtos išlaidos.

Pacientas, kurį numatoma įtraukti į OP-103 tyrimą, susipažįsta ir pasirašo **Informuoto asmens sutikimą**, kuriame išsamiai paaiškinta tyrimo tikslas, principai, etapai, galima dalyvavimo žala bei nauda, tiriamųjų vaistinių preparatų – melflufeno, pomalidomido ir/arba deksametazono galimas šalutinis poveikis, informacija apie asmens duomenų tvarkymą, konfidencialumą, biologinių mėginių paėmimą ir jų saugojimą. Informuoto asmens sutikimo forma yra patvirtinta Lietuvos bioetikos komiteto.

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.

Jeigu 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:	OP-103
EudraCT numeris:	2016-003517-95
Protokolo santraukos versija, data:	Versija 4.1, Data: 2019-05-24
IASF sutikimo formos pavadinimas lietuvių kalba, data, versija:	Oncopeptides AB OP-103 Asmens informavimo ir informuoto asmens sutikimo forma V2.0 Data: 2019-06-06