



**Po MND na wszystko patrzy się inaczej.
Dlatego my patrzymy inaczej na badania
naukowe dotyczące MND.**

Warto pomyśleć o udziale w badaniu MERIDIAN

DZIĘKUJEMY ZA ZAINTERESOWANIE BADANIEM MERIDIAN.

**To badanie kliniczne przeznaczone jest dla osób dorosłych, u których występuje choroba neuronu ruchowego (MND), znana również pod nazwą „stwardnienia zanikowego bocznego” (ALS).
Informacje zawarte w tej broszurze stanowią uzupełnienie rozmów przeprowadzanych z zespołem badania oraz zawierają odpowiedzi na pewne ewentualne pytania na temat badania MERIDIAN.**



CO TO JEST BADANIE KLINICZNE?

Badania kliniczne mają na celu poszukiwanie odpowiedzi na pytania naukowe i znalezienie najlepszych sposobów profilaktyki, diagnozowania lub leczenia chorób i stanów medycznych. Z reguły zanim dany lek zostanie dopuszczony przez organy ds. zdrowia do użytku publicznego, odbywają się 3 fazy badań klinicznych – wszystkie z udziałem ochotników.

Bez uczestników badań klinicznych naukowcy nie byłoby w stanie dowiedzieć się, czy i jak nowe leki działają, a także czy mogą być bezpiecznie stosowane.

Lek podawany w badaniu klinicznym zwany jest „lekiem eksperymentalnym” lub czasami „badanym lekiem”.

DLACZEGO PROWADZONE JEST BADANIE MERIDIAN?

Głównym celem badania MERIDIAN jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa leku eksperymentalnego, pegcetacoplanu (znanego również pod nazwą APL-2) u dorosłych pacjentów ze sporadyczną postacią MND. Określenie „eksperymentalny” oznacza, że pegcetacoplan nie został jeszcze przez żaden organ ds. zdrowia dopuszczony do stosowania w leczeniu MND.



KTO MOŻE WZIĄĆ UDZIAŁ W BADANIU MERIDIAN?

W badaniu MERIDIAN weźmie udział około 230 osób w 15 krajach. Do badania mogą kwalifikować się osoby, które spełniają następujące kryteria:

- Wiek co najmniej 18 lat
- Rozpoznanie sporadycznej postaci MND
- Pojemność życiowa określona w manewrze wolnym (SVC) wynosząca co najmniej 60% na etapie badań przesiewowych
- Brak innych przyczyn osłabienia nerwowo-mięśniowego oraz brak rozpoznania innej choroby neurodegeneracyjnej (do przykładów należy choroba Parkinsona i płąsawica Huntingtona)

Na potrzeby określenia kwalifikowalności zostaną poddane ocenie również inne kryteria.

CZY MOGĘ WZIĄĆ UDZIAŁ, JEŚLI PRZYJMUJĘ RILUZOL LUB EDARAWON?

Stosowanie riluzolu i/lub edarawonu jest dozwolone w trakcie udziału w badaniu pod warunkiem spełnienia następujących kryteriów:

- **Riluzol:** Przyjmowanie stabilnej dawki od co najmniej 30 dni przed badaniami przesiewowymi do badania MERIDIAN.
- **Edarawon:** Przyjmowanie stabilnej dawki od co najmniej 60 dni przed badaniami przesiewowymi do badania MERIDIAN.
- Chęć pozostania przy tej samej dawce riluzolu i/lub edarawonu przez cały okres udziału w badaniu.

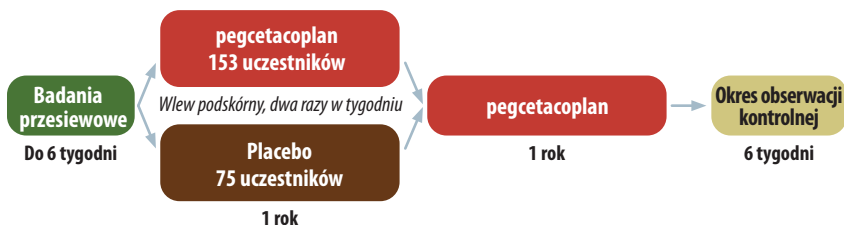
Jeśli nie przyjmuje Pan/Pani żadnego z tych leków ani nie planuje rozpoczęcia ich stosowania, nadal może Pan/Pani wziąć udział w badaniu MERIDIAN pod warunkiem spełnienia kryteriów kwalifikacyjnych.

Nie należy odstawiać ani zmieniać żadnych przyjmowanych leków bez wcześniejszej konsultacji z lekarzem.



Z CZYM WIĄŻE SIĘ UDZIAŁ W BADANIU?

Badanie MERIDIAN można podzielić na 4 okresy: badania przesiewowe, leczenie randomizowane, leczenie otwarte oraz obserwacja kontrolna.



Oczekuje się, że po zakończeniu okresu przesiewowego udział w badaniu MERIDIAN potrwa do 2 lat.

• OKRES LECZENIA RANDOMIZOWANEGO (ROK 1)

Uczestnicy zostaną losowo przydzieleni (zrandomizowani) do przyjmowania leku eksperymentalnego lub placebo w pierwszym roku badania.

Ani członkowie zespołu badania, ani uczestnicy badania nie będą wiedzieć (ani nie będą mogli wybrać), do jakiej grupy zostali przydzieleni.

Jest to nazywane „metodą podwójnie ślepej próby”. Istnieje:

- o 67% szans na przydział do grupy przyjmującej pegcetacoplan
- o 33% szans na przydział do grupy przyjmującej placebo

Uczestnicy i/lub ich opiekunowie zostaną przeszkoleni w zakresie podawania badanego leku (pegcetacoplanu lub placebo). Po szkoleniu będą podawać badany lek samodzielnie w domu, dwa razy w tygodniu.

• OKRES LECZENIA OTWARTEGO (ROK 2)

W drugim roku badania wszyscy uczestnicy będą przyjmować lek eksperymentalny, pegcetacoplan. Leczenie „otwarte” oznacza, że zarówno członkowie zespołu badania, jak i uczestnicy będą wiedzieć, który badany lek przyjmuje dany uczestnik.

Uczestnicy i/lub ich opiekunowie będą podawać pegcetacoplan w domu, dwa razy w tygodniu.



• OKRES OBSERWACJI KONTROLNEJ

Uczestnicy, którzy zakończą udział w badaniu i nie przystąpią do długoterminowego badania kontynuacyjnego albo którzy przedwcześnie zakończą udział w badaniu MERIDIAN, odbędą wizytę w ośrodku 6 tygodni po przyjęciu ostatniej dawki badanego leku.

Informacje o każdym okresie badania, w tym o częstotliwości wizyt, przedstawiono na poniższym wykresie:

1 OKRES PRZESIEWOWY W celu potwierdzenia kwalifikacji do udziału w badaniu i zebrania danych o Pana/Pani stanie zdrowia przed otrzymaniem przez Pana/Panią badanego leku (placebo lub pegcetacoplanu)

Do 6 tygodni	Do 2 wizyt w ośrodku	1 wizyta telefoniczna	Bez podawania badanego leku
--------------	----------------------	-----------------------	-----------------------------

2 OKRES LECZENIA RANDOMIZOWANEGO W celu oceny bezpieczeństwa i skuteczności pegcetacoplanu w porównaniu z placebo

1 rok	6 wizyt w ośrodku	Co najmniej 12 wizyt telefonicznych i cotygodniowe oceny w domu	67% szans na otrzymanie pegcetacoplanu
-------	-------------------	---	--

3 OKRES LECZENIA OTWARTEGO W celu oceny bezpieczeństwa i skuteczności pegcetacoplanu

1 rok	3 wizyty w ośrodku	Co najmniej 12 wizyt telefonicznych i cotygodniowe oceny w domu	Wszyscy uczestnicy otrzymują pegcetacoplan.
-------	--------------------	---	---

4 OKRES OBSERWACJI KONTROLNEJ W celu sprawdzenia Pana/Pani stanu zdrowia po ostatniej dawce badanego leku

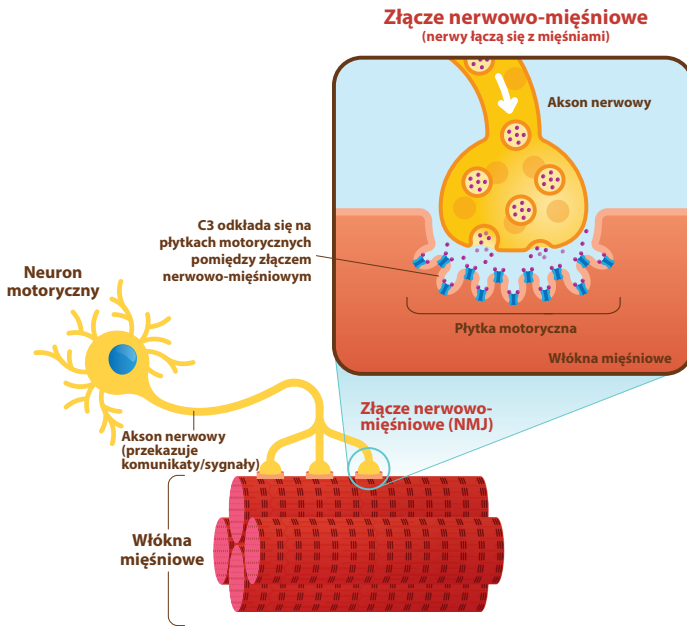
6 tygodni	1 wizyta w ośrodku	1 wizyta telefoniczna	Bez podawania badanego leku
-----------	--------------------	-----------------------	-----------------------------

** Uczestnicy badania MERIDIAN, którzy ukończą Rok 2 badania (zarówno okres leczenia randomizowanego, jak i otwartego), mogą kwalifikować się do udziału w długoterminowym badaniu kontynuacyjnym. Zespół badania bardziej szczegółowo omówi z Panem/Panią możliwość udziału w badaniu kontynuacyjnym.*



CO TO JEST PEGCETACOPLAN I DLACZEGO JEST BADANY U PACJENTÓW Z MND?

Pegcetacoplan, zwany również APL-2, to lek eksperymentalny oceniany w tym badaniu. Został tak opracowany, by oddziaływać na C3, centralne białko w układzie dopełniacza. Stwierdzono wzrost stężenia C3 w obszarze płytki motorycznej (zwanej również „złączeniem nerwowo-mięśniowym”), gdzie nerwy łączą się z mięśniami. Naukowcy są zdania, że ograniczenie aktywności C3 może skutkować odkładaniem się mniejszej ilości C3 na płycie motorycznej, co może ograniczyć stan zapalny, a tym samym zwolnić postępy MND.



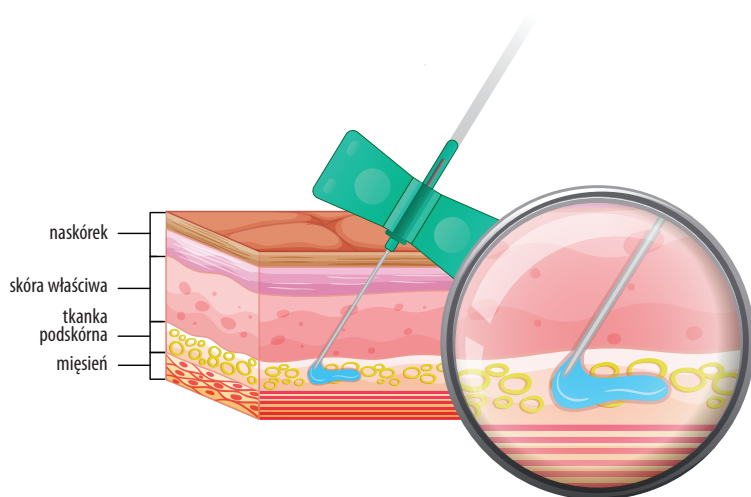
Układ dopełniacza odpowiada za proces biochemiczny we krwi, który pomaga komórkom układu odpornościowego pozbyć się inwazyjnych obcych substancji lub uszkodzonych komórek z organizmu



Z uwagi na fakt, że pegcetacoplan osłabia aktywność układu dopełniacza (stanowiącego część układu odpornościowego), uczestnicy będą musieli przyjąć pewne szczepienia przed rozpoczęciem badania, o ile nie przyjęli ich w ciągu minionych 5 lat.

W JAKI SPOSÓB PODAWANY JEST BADANY LEK?

Badany lek (pegcetacoplan lub placebo) podawany jest w formie wlewu podskórnego dwa razy w tygodniu. Dwie niewielkie igły zostają wprowadzone w warstwę tłuszczową tkanki podskórnej, a badany lek powoli wnika do organizmu. Proces wlewu trwa około 30-45 minut.



**Uczestnicy badania i/lub ich opiekunowie
zostaną przeszkoleni w zakresie podawania
badanego leku w domu.**



CZY PEGCETACOPLAN BYŁ JUŻ WCZEŚNIEJ BADANY U OSÓB Z MND?

Nie. Był badany u osób z innymi chorobami, w których pewną rolę odgrywa układ dopełniacza. Zespół badania może omówić to bardziej szczegółowo, przedstawiając również informacje o znanych działaniach niepożądanych.

DLACZEGO W TYM BADANIU STOSOWANE JEST PLACEBO?

To pierwsze badanie kliniczne oceniające pegcetacoplan u dorosłych pacjentów z MND. Aby określić, czy pegcetacoplan jest skuteczny i bezpieczny, trzeba porównać go z placebo.

JAKIE ZAGROŻENIA I KORZYŚCI WIĄŻĄ SIĘ Z UDZIAŁEM W BADANIACH KLINICZNYCH?

Nie ma gwarancji odniesienia korzyści z udziału w żadnym badaniu klinicznym.

Powody, dla których ludzie decydują się na udział w badaniach klinicznych, obejmują:

- Możliwość przyjmowania leku eksperymentalnego, zanim zostanie dopuszczony do powszechnego użytku
- Pozostawanie pod uważniejszą obserwacją stanu zdrowia
- Pomoc innym osobom z tą samą chorobą poprzez udział w dotyczących jej badaniach naukowych

Zagrożenia związane z udziałem w badaniach klinicznych mogą obejmować:

- Działania niepożądane badanych leków
- Brak skuteczności leku eksperymentalnego

Przed podjęciem decyzji o udziale w tym (lub jakimkolwiek innym) badaniu klinicznym zespół badania przedstawi potencjalne zagrożenia i korzyści związane z udziałem, w tym wszelkie znane potencjalne działania niepożądane leku eksperymentalnego.

Informacje zostaną również przekazane w formularzu świadomej zgody.



CZY UDZIAŁ W BADANIU BĘDZIE SIĘ WIĄZAŁ Z JAKIMIKOLWIEK KOSZTAMI?

Wszystkie związane z badaniem wizyty, testy i badane leki zostaną zapewnione uczestnikom bezpłatnie. Ponadto każdemu uczestnikowi i jego opiekunowi może zostać zapewniona opłacona wcześniej pomoc w zakresie podróży i/lub zwrot kosztów podróży. Zespół badania może przekazać na ten temat więcej szczegółowych informacji.

PRZED PODJĘCIEM DECYZJI ODNOŚNIE DO UDZIAŁU W BADANIU MERIDIAN

Przed podjęciem decyzji należy dokładnie omówić treść formularza świadomej zgody z zespołem badania i upewnić się, że na wszystkie swoje pytania uzyskał(a) Pan/Pani odpowiedź. Ważne jest, by zrozumieć, co oznacza udział w badaniu w kategoriach:

- zaangażowania czasu
- decyzji o przyjmowaniu leku eksperymentalnego
- możliwości przyjmowania placebo
- badań i ocen, którym należy się poddawać
- potencjalnych zagrożeń i korzyści
- obowiązków uczestnika

Decyzja o przystąpieniu do badania klinicznego ma bardzo osobisty charakter i tylko Pan/Pani może ją podjąć.



**Aby dowiedzieć się więcej na temat
badania MERIDIAN i sprawdzić, czy może
Pan/Pani kwalifikować się do udziału,
proszę skontaktować się z:**