

Obsah

Úvod.	2
Co je to klinická studie?	3
Proč jsou klinické studie důležité?	3
Jak jsou klinické studie prováděny?	4
Jaké jsou fáze klinických studií?	5
Další možnosti klinických studií	6
Co ještě potřebuji vědět?	7
Které skutečnosti je třeba zvažovat?	8
Na co je dobré ptát se zdravotníků před vstupem do klinické studie?	8
Na co nesmíme zapomenout?	10
Zeptali jsme se za Vás	11
Slovník pojmů.	14

Úvod

Tato informační brožura je určena pro nemocné s mnohočetným myelomem, jejich rodiny a další blízké osoby, které o nemocné s myelomem pečují. Jejím cílem je odpovědět na důležité otázky, kterými se mohou zabývat ve vztahu ke klinickým studiím, nazývaných také klinické zkoušení (klinické hodnocení) nebo samotnými nemocnými jen krátce „studie“.

Brožurka poskytuje základní informace o významu klinických studií pro vývoj léčby a péče o nemocné s myelomem. Také objasňuje některé odborné pojmy, které můžete slyšet od svého lékaře nebo zdravotní sestry a jsou vysvětleny ve slovníku pojmů.

Co se v této brožurce dozvíte?

- Co je to klinická studie?
- Proč jsou klinické studie důležité?
- Jak jsou klinické studie prováděny?
- Jaké jsou fáze klinických studií?
- Které důležité skutečnosti je třeba zvažovat?
- Jaké jsou nové léčebné postupy a klinické studie u mnohočetného myelomu?
- Otázky, na které bych se měl/a ptát?
- Jak se mohu dozvědět o klinických studiích, které jsou pro mě vhodné?

Brožurka je navržena tak, aby Vám pomohla v rozhodování v případě, že je Vám nabídnuta účast v klinické studii, aby Vám pomohla v okamžiku, kdy se rozhodujete, zda do studie vstoupit nebo nevstoupit. Váš lékař Vám jistě vše podrobně vysvětlí, ale informací je mnoho a Vy si je nemusíte všechny zapamatovat. Nebo si můžete chtít ještě jednou vše v klidu doma promyslet. Brožurka proto také obsahuje vybraný přehled otázek pro lékaře, zdravotní sestru nebo koordinátora studie, které jim můžete opakovaně položit, nebo na které jste doposud nedostali odpověď. Možná zde najdete také úplně nové informace, které jste se např. z časových důvodů zatím od svého lékaře nedozvěděli.

Tato publikace je jednou z řady brožur, průvodců a informačních letáků, vydávaných IMF (International Myeloma Foundation) ve spolupráci s CMG (Česká myelomová skupina) a KPMM (Klub pacientů mnohočetný myelom), které mapují mnoho oblastí myelomu, jeho léčby a ošetřování. Všechny publikace jsou dostupné v ambulancích specializovaných center pro léčbu mnohočetného myelomu v ČR, nebo v elektronické podobě na adresách www.myleoma.cz nebo www.mnohocetnymyelom.cz.

V případě potřeby můžete rovněž kontaktovat informační horkou linku 532 233 551, kde Vám zdravotní sestra ochotně pomůže s odbornou konzultací Vašeho problému nebo dotazu.

Co je to klinická studie?

Klinickou studií se rozumí plánovaný výzkum, jehož se účastní nemocní a ve kterém probíhá zkoušení nových léčebných postupů nebo srovnávání různých typů již v současnosti používaných. Jejich účelem je najít v budoucnosti pro nemocné lepší léčbu.

Studie probíhají podle přesně určené řady pracovních postupů nazývané **protokol**. Nemocný zařazený do studie je podrobně sledován za účelem určení bezpečnosti a účinnosti podávané léčby. Informace získané v průběhu studie jsou shromažďovány a vyhodnocovány zaškolenými výzkumníky. Závěry studií pomáhají určit, který ze zkoušených léčebných postupů je nejlepší, a jak klinické studie přispívají ke zlepšení léčby a péče o nemocné v budoucnosti.

Proč jsou klinické studie důležité?

Pokrok v medicíně může být uskutečněn pouze prostřednictvím výzkumu a klinické studie jsou jeho neodmyslitelnou součástí. Jsou obecně považovány za nejspolehlivější způsob zkoušení/ověřování nových léčebných postupů. Vývoj nové léčebné látky/léku je po několika přísně kontrolovaných fázích vývoje zakončen **fází III**. Tato fáze je rozhodující pro srovnání, která léčebná látka/lék je nejúčinnější. Srovnávání je podmíněno procesem zvaným **randomizace**, při kterém je náhodně vybrán jeden z možných léčebných postupů. Náhodný výběr zajišťuje kvůli objektivitě počítač/system. Proces randomizace je podrobněji vysvětlen v jiné části brožurky.

Je nutné upozornit, že nové léčebné postupy nemusí být bezpodmínečně lepší než v aktuální době podávaná standardní léčba. Ve skutečnosti mohou být někdy i horší. Klinické studie jsou však ve výzkumu zásadní pro zjištění, zda je nový léčebný postup prospěšný.

Jestliže závěr klinické studie prokáže, že nová (**zkoušená**) léčba nebo postup má výhody oproti současné standardní léčbě, tento nový léčebný postup se pak pravděpodobně v budoucnu stane léčebným postupem standardním.

Pouze Váš ošetřující lékař Vás může zařadit do klinické studie a před vstupem do studie (Vaším rozhodnutím, souhlasem a zařazením) byste měl/a znát odpovědi na všechny otázky. Všechny studie mají svůj specifický **design** (mají přesně specifikovány podmínky průběhu studie), proto nejsou vhodné pro všechny nemocné, a proto je také mohou nabízet jen některé nemocnice.

Váš ošetřující lékař je nejvhodnější osoba, která zjistí, jestli můžete být zařazen/a do nějaké ze studií, protože nejlépe zná Váš zdravotní stav i vývoj celé nemoci a může tak dobře posoudit, zda je pro Vás některá ze studií vhodná.

Jak jsou klinické studie prováděny?

Jak již bylo výše řečeno, každá klinická studie má stanoveny podmínky, za kterých může probíhat a ty jsou přísně kontrolovány. Mnoho studií probíhá jako nadnárodní (ve více zemích) a proto i regulatorní úřady dané země kontrolují design studie a posuzují, zda tam může probíhat. Kdo tedy odpovídá za průběh studie?

Zkoušející a koordinátor studie jsou bezprostředně zodpovědní za průběh studie na daném pracovišti. Zkoušejícím je většinou lékař, který může být zároveň i koordinátorem studie. Vzhledem k tomu, že s klinickou studií je spojeno mnoho speciálních postupů a velké množství administrativy, mají mnohá pracoviště k dispozici tým koordinátorů z řad zdravotních sester. Ti všichni spolupracují na přípravě pracovního plánu pro daného nemocného a striktně se přitom řídí stanoveným pracovním postupem studie – protokolem. Protokol popisuje, kteří nemocní a za jakých podmínek mohou být do studie zařazeni, přesně vymezuje plán vyšetřovacích testů, pracovních postupů, podávaných léků (včetně dávkování) a délku trvání studie. Pro danou studii používají všichni lékaři stejný protokol, nezáleží na lokalizaci pracoviště.

Pro bezpečnost nemocných musí být každý protokol schválen odpovědnou organizací či více organizacemi dle platné legislativy státu. V České republice je touto odpovědnou organizací **Státní ústav pro kontrolu léčiv (SÚKL)**. Další ústavní kontrolní (hodnotící) radou je **etická komise** v jednotlivých nemocnicích, kde studie probíhá. Etická komise musí mít nejméně pět členů, ale v praxi jich bývá daleko více, protože horní hranice není stanovena. Členové etických komisí musí být bezúhonní lidé, kteří se zavazují povinností mlčenlivosti. Zástupci jsou jmenováni především z řad zdravotnických pracovníků (lékaři, farmaceuti, psychologové, sestry, sociální pracovníci), dále to jsou další nezávislé osoby např. z řad právníků, sociologů, lidí specializujících se na zdravotní či medicínskou etiku, duchovních nebo zástupců pacientských organizací. Komise hodnotí protokol, aby zajistila, že výzkum nevystavuje nemocné nepřijatelným nebo neetickým rizikům.

Každý protokol popisuje podmínky, které musí všichni nemocní ve studii splňovat. Tyto nazýváme „**vstupní kritéria**“ a jsou rozdílná pro každou studii v závislosti na jejím účelu nebo zkoumaných otázkách. Kritéria mohou zahrnovat pohlaví, fázi onemocnění (myelomu) – zda jde o nově zjištěné

onemocnění nebo o relaps, informace o předešlé léčbě a dalších zdravotních potížích (např. ledvinné selhávání nebo srdeční obtíže).

Mnoho nemocných není zařazeno do studie, protože nesplní vstupní kritéria. V případě, že nejste vhodným kandidátem do žádné studie, neznamená to, že Vám podobná léčba nemůže být poskytnuta. Váš lékař s Vámi prodiskutuje další léčebné možnosti.

Vstupní kritéria jsou velmi důležitou částí studie. Pomáhají chránit bezpečnost nemocného. Nemocní, kteří by mohli být poškozeni užíváním zkoušené léčby, nejsou tomuto riziku vystaveni.

Jaké jsou fáze klinických studií?

Preklinické studie

Vývoj nových léků obecně začíná v laboratoři a jen velmi málo z nově vzniklých molekul a z nich vyvinutých léků může být předloženo jako účinná léčba pro nemocné do běžné praxe. U léků na mnohočetný myelom je nejdříve hodnocena schopnost ničit zhoubné buněčné linie, které jsou získány od skutečných nemocných s myelomem. Tento proces pomáhá při rozhodování jak o možnostech účinku, tak o dávce léku, která je nutná k dosažení potřebné účinnosti. Dalším krokem je zjistit, zda tato dávka léku může být bezpečně podána nemocným. Jedinou cestou k tomuto zjištění je podání nižší dávky laboratorním zvířatům a sledování nežádoucích účinků. Jestliže se neobjeví žádné vedlejší nežádoucí účinky a hladina podávaného léku je v rozmezí jeho požadované účinnosti, lék je vhodný pro hodnocení na lidech.

V případě, že je nový léčebný postup schválen pro užívání lidmi, další výzkum většinou zahrnuje studie se třemi nebo čtyřmi různými fázemi. Každá fáze objasňuje různé otázky týkající se nového léku či léčebného postupu.

Fáze I

V klinických studiích fáze I výzkumníci testují nový lék nebo léčebný postup na malé skupině nemocných. V této fázi se zjišťuje, jak lidský organismus testovanou látku toleruje a zda se objeví nějaké vedlejší či nežádoucí účinky. Nejdříve se podávají malé dávky a ty se postupně zvyšují, čímž se nachází maximálně tolerovaná dávka léku. Cílem klinické studie fáze I není hodnocení účinnosti zkoušeného léku.

Fáze II

Cílem klinických studií fáze II je ověření léčebných účinků léku a zároveň se shromažďují další údaje např. o nežádoucích účincích nebo chování léku

v organismu ve srovnání s dříve používanou léčbou. Fázi II podstoupí předně definovaný počet nemocných (desítky až stovky). Poté může být navržena příslušná fáze III.

Fáze III

V klinických studiích fáze III probíhá randomizace a srovnávání nejlepší současné standardní léčby s novými léky nebo léčebnými postupy. Účinnost nových léků nebo léčebných postupů byla již prokázána ve fázi II a je zřejmé, že tato účinnost bude nejméně tak dobrá a ve skutečnosti někdy i lepší než nejlepší v současnosti užívaná standardní léčba (zlatý standard). Je důležité upozornit na to, že při randomizování nemocných lékař s určitostí neví, který léčebný postup je nejlepší. V této fázi již neprobíhá náhodné experimentální zkoušení přípravků, které by nemusely být účinné. Jde jen o to přesně určit, zda jsou zkoušené léčebné postupy lepší než současná nejlepší léčebná strategie. Do této fáze studie bývá zařazen velký počet nemocných (stovky až tisíce). Pro urychlení náboru pacientů probíhá studie zároveň ve více zdravotnických zařazení, popř. státech.

Fáze IV

Fáze klinické studie IV probíhá teprve tehdy, až jsou hodnocené léky nebo léčebné postupy zavedeny do každodenního užívání. Studie pokračují testováním léků a léčebných postupů k získávání informací o jejich účinnosti na rozmanitých skupinách nemocných. Sleduje nežádoucí vedlejší účinky spojené zvláště s dlouhodobým užíváním.

Další možnosti klinických studií

Vedle těchto různých fází existují také různé typy studií. V případě, že se ve studii srovnává standardní a nová léčba, skupina nemocných dostávající standardní léčbu je nazývána kontrolní skupinou a skupina nemocných dostávající léčbu novou se nazývá hodnocená (nebo někdy experimentální) skupina.

Placebem kontrolované studie

U některých nemocí, v případech, kdy neexistuje standardně podávaná léčba a nemůže tak být srovnávána s léčbou novou, je nemocným podáváno placebo. Placebo vypadá stejně jako skutečný lék, ale je kompletně neúčinné a neškodné. Tento druh studie pro léčbu myelomu prakticky neexistuje.

Zaslepené studie

V těchto studiích nejsou nemocní informováni o tom, jestli jsou zařazení do kontrolní nebo hodnocené skupiny a podávaná léčba vypadá stejně v obou

(nebo více) skupinách. Dvojitě zaslepená studie znamená, že ani nemocný ani lékař neví, ve které skupině je který nemocný zařazen.

Zaslepené nebo dvojitě zaslepené studie mají za cíl zmenšit riziko zaujatosti a snížit ovlivnění výsledku studie pozitivními nebo negativními pocity. V případě, že se objeví neočekávaný problém s léčbou podávanou ve studii, Váš lékař může zjistit od koordinátorů studie, který z léků užíváte (odslepení studie).

Zaslepené studie je možné provádět jen tehdy, mohou-li být podávány dvě léčby stejným způsobem (stejná léková forma, např. tablety).

Co ještě potřebuji vědět?

Randomizace

Je to proces, při kterém počítač/systém náhodně zařadí nemocné ve studii do jedné či druhé léčebné skupiny. Provádí se za účelem vyhnout se zaujatosti a tím zajistit, že výsledky nejsou ovlivněny individuálním výběrem nebo dalšími faktory nesouvisejícími s testovanou léčbou.

Kvalita života

V posledních letech vědci vyvinuli podrobné testy a dotazníky, které umožňují hodnotit kvalitu života nemocných. Tyto dotazníky umožní lékařům prozkoumání nových léčebných postupů v širších souvislostech ovlivňujících Váš každodenní život ve srovnání s dalšími druhy léčby.

Co se stane s výsledky studie?

Všechny klinické protokoly by měly zřetelně vyjadřovat okolnosti, na které budou výzkumníci pohlížet při rozhodování o tom, který léčebný postup či lék je neúčinnější a nejbezpečnější. Ty jsou často zmiňovány jako konečné cíle a výsledky. Typické cíle studií týkající se myelomu zahrnují informace o: době přežití, době do relapsu nemoci, minimální, částečnou a celkovou léčebnou odpověď.

Výsledky jsou často prezentovány na velkých lékařských kongresech a publikovány v lékařských časopisech k zajištění informovanosti největšího možného počtu lékařů. Tímto způsobem mohou studie zlepšit léčebné postupy a péči o nemocné. Nikdo z nemocných nebude identifikován v žádné zprávě ani publikaci. V budoucnosti by mohly být výsledky studií přístupné těm, kteří se jich účastní.

Které skutečnosti je třeba zvažovat?

Existuje mnoho věcí, o kterých byste měli přemýšlet ještě před tím, než vstoupíte do klinické studie. Rozhodně byste měli pečlivě zvážit důvod, pro který do klinické studie vstupujete.

Možné důvody PRO VSTUP do klinické studie:

- S určitostí dostanete současnou nejlepší možnou léčbu nebo zcela novou léčbu, která by pro Vás byla jinak nedostupná.
- Vývoj Vašeho onemocnění je v průběhu studie pečlivě sledován specialisty v oboru, dokonce častěji než při běžném léčebném režimu – lékaři, sestrami.
- Mohl/a byste výzkumníkům pomoci při zlepšování léčebných postupů pro nemocné v budoucnosti.
- Když se studií účastní více nemocných, budou dříve zodpovězeny důležité otázky.

Možné důvody PRO ODMÍTNUTÍ vstupu do klinické studie:

- Nový léčebný postup nemusí být lepší než dosavadní.
- Nové léky mohou mít vedlejší nežádoucí účinky, které nemůže nikdo předvídat.
- Nový léčebný postup nemusí být pro Vás účinný (to může platit pro jakoukoli léčbu, kterou podstupujete).
- Vhodnou léčbu dostane i přesto, že se klinické studie nezúčastníte.

Na co je dobré ptát se zdravotníků před vstupem do klinické studie?

Klinické studie

- Jaký je účel této klinické studie a o kterou fázi klinické studie se jedná?
- Proč si myslíte, že nový testovaný lék nebo léčebný postup bude účinný?
- Kdo studii organizuje a kdo ji kontroluje a schvaluje?
- V případě, že budu ve studii užívat nový lék a budu z něj mít prospěch, mohu jej užívat i nadále po ukončení studie?
- Pokud nemohu lék dál užívat, jak se bude postupovat po ukončení studie? Existuje nějaká varianta?
- Jak jsou kontrolována data ve studii a bezpečnost nemocného?
- Kam jsou předávány výsledky a informace o studii? Kdy budou publikovány? Dozvíím se výsledky?

- Jaká je doba trvání studie a kolik dalších nemocných bylo ve studii léčeno?

Možná rizika a užitek

- Jaká jsou krátkodobá a dlouhodobá rizika, doposud známé vedlejší nežádoucí účinky testovaného léku a jaký prospěch pro mě vstup do studie bude znamenat?
- Jaká je standardní léčba a další možnosti, když se rozhodnu pro neúčast ve studii?
- Jak se porovnávají předpokládaná rizika, nežádoucí účinky a prospěch se standardní léčbou nebo s dalšími možnostmi?

Péče o Vás

- Jaký typ léčby, testů nebo procedur budu podstupovat v průběhu studie? Mohou být bolestivé? Můžete je srovnat s tím, co bych podstoupil mimo studii?
- Budou tyto procedury častější než obvykle?
- Budu muset dodržovat nějaký speciální harmonogram, je to opravdu nezbytně nutné. Pokud ano, proč?
- Jak často a jak dlouho budu léčbu dostávat a jak dlouho bude nutné ve studii setrvat? Bude po skončení studie následovat další sledování?
- Kde budu léčen? Budu muset být v nemocnici? Jestliže ano, jak často a jak dlouho?
- V případě, že se účastním studie a nedostávám zkoušený lék, může mi být nabídnut na konci studie, když konvenční (obvyklá) léčba neúčinkuje a studiový lék se prokáže jako účinný?
- Jaké existují varianty, když se rozhodnu pro neúčast ve studii? Bude nějak ovlivněna úroveň poskytované péče?

Osobní otázky

- Jak by mohla studie ovlivnit můj každodenní život?
- Existuje pro mne a mou rodinu podpora od zdravotnického zařízení/firmy, která klinickou studii navrhuje? Např. doprava do léčebného centra, kde studie probíhá?
- Jak dlouho bude studie trvat?
- Je požadováno dlouhodobé sledování?

Na co nesmíme zapomenout?

Jaká jsou moje práva a jak budou chráněna?

- Vaším základním právem je právo na srozumitelné informace. Jednou z podmínek vstupu do klinické studie je Váš podpis informovaného souhlasu. **Informovaný souhlas** znamená, že musíte dostat všechny podstatné informace o studii v terminologii, které rozumíte, ještě před tím, než se rozhodnete do studie vstoupit či nevstoupit. Informovaný souhlas zahrnuje: podrobnosti o léčbě a vyšetřeních, která podstoupíte, předpokládaný užitek a rizika, dobu trvání studie a důvody k jejímu provedení. Obdržíte formulář informovaného souhlasu, který předkládá všechna podstatná fakta. V případě, že souhlasíte s účastí ve studii, budete požádán o podepsání tohoto formuláře. V případě, že se objeví nové informace v souvislosti se studií, můžete být požádán/a o podepsání nového formuláře. Informovaný souhlas znamená, že máte právo na informace a máte právo klást otázky kdykoliv v průběhu studie. Jednu kopii informovaného souhlasu obdržíte pro svou potřebu. Doporučujeme tuto kopii pečlivě uschovat a v případě jakýchkoliv nejasností v průběhu klinické studie se k textu vrátit.
- Podpisem informovaného souhlasu se nezavazujete k setrvání ve studii. Můžete stále kdykoliv bez udání důvodu ze studie vystoupit. Toto rozhodnutí nebude mít vliv na Vaši další léčbu. Bude Vám poskytnuta jiná, v dané chvíli nejvhodnější léčba.
- Studie je pravděpodobně jen jednou z Vašich léčebných možností. Hovořte se svým lékařem a společně se můžete rozhodnout o tom, co je pro Vás nejlepší. V případě, že se do studie zapojíte, lékaři a zdravotní sestry budou pečlivě sledovat Vaši reakci na léčbu.
- V případě, že se rozhodnete ze studie vystoupit, budou s Vámi projednány všechny další vhodné léčebné možnosti. Na základě původní léčby podávané ve studii však může být požadováno další sledování.

Zeptali jsme se za Vás

Nabízíme Vám vybrané otázky a odpovědi, které zazněly na vzdělávacích seminářích pro nemocné s mnohočetným myelomem a jejich blízké. Na otázky odpovídají odborníci pro léčbu mnohočetného myelomu v ČR:

Otázka č. 1

Jaké jsou výhody a nevýhody zařazení do klinické studie? Omezí mě zařazení do klinické studie v mém běžném životě?

Jako hlavní výhodu vidím to, že se díky klinickým studiím dostanete k lékům, ke kterým se zatím není možné dostat běžnou cestou a které mohou Vaši nemoc pozitivně ovlivnit. Další výhodou je, že Vaše laboratorní výsledky jsou sledovány častěji, ve větším rozsahu a podrobněji v porovnání s pacienty, kteří nejsou do žádné studie zařazeni. Další nespornou výhodou je, že jste více než standardně sledováni při jakékoliv změně Vašeho zdravotního stavu.

Jako nevýhodu můžeme vnímat fakt, že se díky zařazení do klinické studie může zvýšit četnost návštěv u lékaře-specialisty, léky jsou podávány ve větší intenzitě a častěji než při standardní léčbě. Také počet vyšetření se může zvýšit, a dokonce se může stát, že odběry kostní dřeně jsou speciálně načasovány a plánované intervaly je nutné dodržovat. Otázkou je, jestli častější sledování a podrobnější vyšetření je pro pacienta zátěží nebo to představuje výhodu.

Samozřejmě všechny výhody a práva jsou na Vaší straně a všechny povinnosti jsou na straně lékaře. Jestliže se kdykoliv rozhodnete ze studie vystoupit, nikdo Vás za toto rozhodnutí nemůže postihnout, nicméně moje doporučení zní – vydržet. Nikdo na Vás nezkouší neověřenou léčbu, jde o přesnou kombinaci a dávku, kterou dostáváte, a lékař více než pečlivě sleduje průběh celé studie. Nikdy se nestane, že byste v rámci studie dostávali neodpovídající léčbu, nebo že byste vůbec nebyli léčeni.

Otázka č. 2

Od června tohoto roku se léčím s myelomem a zjistila jsem, že mnoho lidí je zařazeno do „studií“. Mám také šanci být takto léčena? Existují kritéria pro zařazení? Pokud se budu o studii aktivně zajímat, bude to mít vliv na mé rychlejší zařazení do studie?

V rámci klinických studií se můžete dostat k některému z nových léků, který je sice ještě ve fázi zkoušení, ale už víme, že je užitečný. To platí pro studie fáze III, kdy je srovnáván nový lék proti současnému standardu. Studie fáze III je nejčastějším typem studie, které běží v ČR, fáze III znamená, že dostáváte buď náš nejlepší léčebný standard, kterým běžně léčíme nebo standard

a nový lék k tomu. Když se o studii budete zajímat, tak určitě existuje vyšší pravděpodobnost, že na Vás budeme myslet, ale myslím, že lékaři ve fakulních nemocnicích na studii nepochybně myslí.

Kde vidím trochu rezervu, jsou hematologové v regionálních centrech, kteří, upřímně řečeno, neradi své pacienty posílají do jiných center. Bohužel si také myslím, že na regionálních léčebných centrech se na studii myslí o hodně méně. Pokud se léčíte ve fakulní nemocnici, tak upřímně, ať se o studii zajímáte nebo ne, vhodná studie Vám bude vždy nabídnuta a Vy se pak můžete rozhodnout, jestli do ní vstoupíte nebo ne. Ale pokud jste léčeni v regionálním léčebném centru, které nemá přístup ke studiím tak snadný, tak si myslím, že v tomto případě může být Vaše aktivita rozhodující proto, abyste do klinické studie byli zařazeni.

Otázka č. 3

Byl jsem léčen standardním způsobem a po nějaké době jsem byl zařazen do studie. Překvapuje mě, že ve studii se nedodržíte typický rytmus cyklů léčby (např. 8 cyklů a dost) Proč se takto postupuje?

Už asi 13 let sleduji léčbu myelomu a stále víc si myslím, že neustále probíhá v nějakých cyklech a v průběhu těch cyklů postupně zjišťujeme, že by možná byly výsledky léčby lepší, pokud by bylo možné léky podávat delší dobu. Jenže naše regulační orgány tento fakt bohužel neberou dostatečně v potaz.

Na rozdíl od toho klinické studie chtějí získat maximum. A tato snaha je pro Vás jako pacienty v konečném výsledku hodně přínosná. Proto se lék podává bez omezení cyklů.

Otázka č. 4

Co když se objeví nové informace nebo zázračný objev v době, kdy budu léčen v rámci klinické studie?

Protože klinické studie mohou trvat delší dobu, opravdu se mohou objevit nové informace o lécích či léčebných postupech. Váš lékař by Vám měl podávat aktuální informace o novinkách v léčbě a prokonzultovat s Vámi, zda chcete zůstat ve studii. V případě, že se rozhodnete pokračovat, můžete být vzhledem k těmto novým zásadním informacím požádáni o podpis aktualizovaného informovaného souhlasu.

Otázka č. 5

Když mi můj ošetřující lékař nabídne možnost zařazení do studie, mohu odmítnout? Nebude to mít vliv na mou další léčbu?

Ne, studie se opravdu účastnit nemusíte. Je to Vaše vlastní rozhodnutí a vstup do studie by neměl být ukvapený. Měl/a byste mít k dispozici veškeré informace a čas k rozhovoru s rodinou či přáteli před tím, než se rozhodnete. Pokud tomu tak není, vyžadujte tento čas a v klidu si vše promyslete. Pokud máte pochybnosti, máte nárok na druhý názor odborníka.

Jestliže se rozhodnete studie nezúčastnit, v žádném případě nebude mít Vaše rozhodnutí vliv na standardní léčbu, kterou samozřejmě obdržíte, ani na vztah s Vaším lékařem. Dokonce, i když se rozhodnete do studie vstoupit, můžete z ní kdykoli vystoupit bez udání důvodu. V případě, že by došlo k závažnému poškození Vašeho zdraví, může být vystoupení z některých typů studií obtížnější, ale tuto informaci musíte od svého lékaře obdržet předem.

Otázka č. 6

Kde najdu aktuální informace o klinických studiích v ČR?

V naší zemi je k dispozici mnoho klinických studií a probíhá několik projektů v oblasti hledání účinnější a méně toxické léčby. Ve vývoji je tak mnoho nových léčebných postupů a přicházejí stále další. Ne všechny nově vznikající léčebné postupy však jsou vždy vhodné pro všechny nemocné. V případě, že máte zájem o vyzkoušení nového léčebného postupu nebo potřebujete více informací o klinických studiích, které naleznete na níže uváděných odkazech, měl/a byste se o tom poradit se svým ošetřujícím hematologem.

Pokud chcete najít nejnovější, objektivní informace o aktuálně probíhajících studiích pro nemocné s mnohočetným myelomem, najedete je na webech:

<http://www.myeloma.cz/index.php?pg=studie-vyzkum--klinicke-studie>

<http://www.mnohocetnymyelom.cz>

Pokud hledáte obecné informace o klinických studiích doporučujeme stránky:

<http://www.sukl.cz/modules/evaluation/>

<http://www.sukl.cz/leciva/klinicke-hodnoceni-leciv>

Slovník pojmů

Dvojitě zaslepená studie: V této studii ani lékař ani nemocný neví, kdo je zařazen do které testované skupiny.

Hodnocená skupina: V klinické studii je to skupina nemocných s nádorovým onemocněním, která během klinického zkoušení podstupuje novou léčbu.

Informovaný souhlas: Informace, ze kterých se nemocný dozvídá klíčové údaje o klinické nebo výzkumné studii, a pak dobrovolně souhlasí se vstupem do studie nebo se rozhodne pro neúčast. Tento proces zahrnuje podpis formuláře, který popisuje prospěch a rizika, která se mohou objevit v případě účasti ve studii.

Etická komise (EK) v ČR: Ústavní kontrolní (hodnotící) rada – skupina vědců, lékařů, duchovních a zástupci laické veřejnosti ze zdravotnických zařízení, kde je studie prováděna. EK přezkoumává a musí schvalovat protokoly všech studií, aby svým návrhem chránily nemocné, které se studií účastní.

Hematoonkolog: Lékař, jehož specializací je léčba krevních nádorových onemocnění.

Jednoduše zaslepená studie: Metoda používaná k předcházení ovlivňování léčebné studie. V jednoduše zaslepené studii není nemocný informován, zda dostává standardní nebo novou zkoušenou léčbu. Tuto informaci mají pouze lékaři.

Klinické studie: Výzkumné studie, do kterých jsou zapojeny lidské subjekty. Každá studie zkouší odpovědět na vědecké otázky a najít lepší způsob, jak předcházet nebo léčit nádorová onemocnění.

Konečné cíle: Parametry použité k hodnocení účinnosti. Např. u myelomu – dosažení remise nebo pokles paraproteinu pod určitou hladinu, celkové přežití, doba do relapsu.

Kontrolní skupina: V klinické studii je to skupina nemocných, která je léčena standardní léčbou.

Nepříznivé ovlivnění (zaujatost): Vedle léčby jsou analyzována lidská rozhodování nebo další faktory, zda nemohly ovlivnit výsledky studie. V klinických studiích se využívá řada metod k omezení zaujatosti, protože ovlivněné výsledky nemusí být správné.

Placebo: Tablety, kapsle nebo injekce, které vypadají jako léky nebo jiné testované látky, ale neobsahují žádnou účinnou látku.

Protokol: Pracovní plán pro klinickou studii. Plán určuje, co bude ve studii uděláno a proč. Stanovuje, kolik nemocných se studie zúčastní, jaké vyšetřovací testy Vám budou prováděny a jak často a rozpis léčby.

Randomizace: Metoda používaná k předcházení ovlivňování výzkumu. Nemocní jsou do léčebné nebo kontrolní skupiny rozdělováni náhodně.

Remise: Stav, kdy známky a příznaky nádorového onemocnění odezní, o nemoci se říká, že je „v remisi“. Remise může být dočasná nebo trvalá.

Stadium: Informace o rozsahu nádorového onemocnění a zda je nemoc rozšířena z původního místa na jiné části lidského těla. K definování stadia nádorového onemocnění se používají čísla s písmenem nebo bez něj (např. stadium IIb).

Standardní léčba: V současnosti nejlepší známá léčba pro nádorové onemocnění, založená na výsledcích předešlého výzkumu.

Vedlejší (nežádoucí) účinky: Potíže, které se vyskytnou, když léčba nepříznivě působí na zdravé buňky. Běžné vedlejší účinky standardní protinádorové léčby jsou únava, nevolnost, zvracení, snížení počtu krvinek, ztráta vlasů a bolesti v dutině ústní. Nové léčebné metody, které jsou testovány, mohou mít tyto nebo další neznámé vedlejší účinky.

Zkoušející: Výzkumný pracovník účastnící se výzkumu léků. V klinických podmínkách je to lékař.

Česká myelomová skupina (CMG) působí od roku 1996. V rámci svého poslání se snaží v ČR organizovat u vybrané skupiny onemocnění – monoklonální gamapatie – klinické aktivity na standardní světové úrovni, a poskytnout tak nemocným optimální péči a rychlou dostupnost nejperspektivnějších postupů.

Pro urychlení svých cílů se CMG rozhodla založit nadační fond (2001).

Základní cíle nadačního fondu jsou:

- Podpora výzkumu v oblasti mnohočetného myelomu – preklinického i klinického.
- Vytváření podmínek pro spolupráci výzkumníků a lékařů České republiky v oblasti mnohočetného myelomu.
- Vytváření podmínek pro profesionální poskytování informací nemocným a jejich blízkým.
- Zkvalitnění péče o nemocné se zhoubnými hematologickými chorobami.
- Získávání finančních prostředků z darů a výtěžků dobročinných akcí.

Informační servis CMG NF

- Brožury (ucelené informace o jednotlivých diagnózách, léčebných postupech, ...).
- Informační letáky (informace o lécích, prováděných vyšetřeních, příznacích nemoci, ...).
- Poučení kvalifikovaným personálem (osobní rozhovory s nemocným, rodinou).
- Bulletin (aktuality, dotazy, odborné informace) ve spolupráci s Klubem pacientů mnohočetný myelom.
- Odborné konzultace (psycholog, ortoped, ...).
- Informace na internetu (stránky jsou průběžně aktualizovány, možnost registrace do CMG, možnost přímého dotazování).
- Horká linka +420 532 233 551 nebo e-mail: cmg@myeloma.cz (v případě, že potřebujete získat další přesné informace o mnohočetném myelomu nebo chcete konzultovat léčebné možnosti či jiné související problémy).
- Informace o nejnovějších léčebných metodách s možností zapojení do klinických studií.
- Semináře pro nemocné a jejich rodiny.

CMG NF

Snadný přístup k informacím a praktickým radám, týkajících se léčby mnohočetného myelomu.

Kontakt

Kamenice 753/5, 625 00 Brno

IČ 26266148

Tel.: 532 233 551, fax: 532 232 413

<http://www.myeloma.cz>

e-mail: roman.hajek@fno.cz

Klub pacientů mnohočetný myelom je nestátní nezisková organizace pacientů s mnohočetným myelomem a jejich blízkých. Oficiálně byl založen z iniciativy pacientů 19. března 2007. Jeho posláním je nabízet plnohodnotné informace lidem s mnohočetným myelomem a jejich blízkým, zprostředkovávat setkání s odborníky z různých oblastí a pomáhat jim orientovat se v tíživé životní situaci.

K základním cílům Klubu pacientů MM patří:

- Sdružit pacienty s diagnózou mnohočetný myelom, jejich blízké a zdravotníky.
- Zprostředkovávat dostupnost informací o onemocnění, možnostech léčby a následné péče a také v dalších otázkách, se kterými se pacienti setkávají.
- Vytvořit komunikační prostředek pro sdílení zkušeností mezi pacienty, jejich rodinami, přáteli a okolím.
- Zviditelnit pojem mnohočetný myelom, který je málo se vyskytující onkologickou diagnózou mezi českou veřejností.

Základní aktivity Klubu pacientů MM:

- Informační odpoledne regionálních Klubů – odpolední setkání s odborným a společenským programem pro pacienty s myelomem. Setkání se pořádají 2x ročně v Brně, Hradci Králové, Olomouci, Plzni a Praze. Odborný program je připravován s ohledem na potřeby pacientů v daném regionu - vystupují zde hematologové, experti na léčbu bolesti, neurologové, ortopedi, nefrologové, stomatologové, nutriční terapeuti, fyzioterapeuti a další odborníci.
- Bulletin-klubový časopis – vychází 3x ročně a je distribuován do všech specializovaných léčebných center v ČR. Členové Klubu jej dostávají poštou. Jsou zde uveřejňovány informace o dění v Klubu, zprávy z Informačních odpolední a vzdělávacích seminářů, životní příběhy pacientů a další.
- Vzdělávací semináře – ve spolupráci s Českou myelomovou skupinou, nadačním fondem pořádáme 2 celorepublikové semináře. Na jaře jednodenní seminář s názvem Život s mnohočetným myelomem. Na podzim dvoudenní vzdělávací seminář pro nemocné s mnohočetným myelomem, jejich rodinu a přátele.

Klub pacientů MM provozuje webové stránky – www.mnohocetnymyelom.cz – a FB, všechny zde uváděné odborné informace jsou garantovány odborníky

České myelomové skupiny. Nabízíme on-line elektronickou poradnu. Na odborné dotazy rovněž odpovídají odborníci CMG, spolupracující psycholog, fyzioterapeut, nutriční terapeut a sociální pracovník.

Na webu jsou také k dispozici veškeré informace o aktivitách Klubu pacientů MM a mnohé další zajímavé zprávy.

Kontakt:

Klub pacientů mnohočetný myelom, Kamenice 753/5, 625 00 Brno

Tel.: + 420 603 310 523; e-mail: koordinatorka@mnohocetnymyelom.cz

www.mnohocetnymyelom.cz

International Myeloma Foundation (Mezinárodní myelomová nadace, IMF), založená roku 1990, je nejstarší a největší světovou charitativní organizací, zabývající se myelomem. IMF nabízí pomoc pacientům s myelomem, rodinným příslušníkům i zdravotnické komunitě celkem ve 140 zemích a její členskou základnu tvoří 350 tisíc členů. IMF poskytuje široký rozsah programů v oblasti výzkumu, vzdělávání, podpory a lobbingu:

VÝZKUM IMF stojí v čele společného celosvětového výzkumu v oblasti myelomu. IMF podporuje laboratorní výzkum a od roku 1995 přidělila předním výzkumným pracovníkům z řad mladých i zkušených vědců více než 100 grantů. IMF mimo jiné spojuje velmi úspěšným a jedinečným způsobem přední odborníky z celého světa prostřednictvím International Myeloma Working Group (IMWG). Tito odborníci publikují v prestižních lékařských časopisech, zaznamenávají průběh nemoci až do vyléčení, radí další generaci inovativních výzkumných pracovníků a zlepšují život nemocným díky lepší péči.

VZDĚLÁVÁNÍ Vzdělávací semináře IMF pro pacienty a rodinné příslušníky, semináře zdravotních center a semináře regionálních komunit se konají na celém světě. Tato zasedání poskytují aktuální informace, prezentované předními odborníky a výzkumnými pracovníky v oblasti myelomu přímo pacientům s myelomem a jejich rodinám. Knihovna s více než 100 publikacemi pro pacienty a poskytovatele péče i pro zdravotnické pracovníky je každoročně aktualizována a je bezplatně k dispozici. Publikace jsou dostupné ve více než 20 jazycích.

PODPORA Na bezplatné informační lince 800-452-CURE (2873) zodpovídají dotazy koordinátoři, kteří každý rok poskytnou po telefonu a e-mailu podporu a informace tisícům rodin. IMF udržuje síť více než 150 podpůrných skupin a nabízí školení pro stovky obětavých pacientů, poskytovatelů péče a zdravotních sester, působících jako dobrovolníci při vedení těchto skupin.

LOBBING Program lobbingu IMF školí a podporuje zainteresované jedince, aby lobbovali ve zdravotních otázkách, jež se týkají společenství, spojeného s myelomem. IMF působí na státní i federální úrovni a vede dvě koalice pro lobbing za rovnost v pojistném krytí. Tisíce lobbistů, vyškolených IMF, má každý rok pozitivní dopad na otázky, jež jsou pro komunitu spojenou s myelomem důležité.

Zlepšujeme životy. [Nacházíme léčbu®](#)