ČESKÁ MYELOMOVÁ SKUPINA
CZECH MYELOMA GROUP
CMG
NADAČNÍ FOND

Klinické studie a myelom

Základní informace pro nemocné

ČESKÁ
MYELOMOVÁ
SKUPINA

Úvod

Tato informační brožura je určena pro nemocné s myelomem, jejich rodiny a další, kteří se o nemocné pečují. Jejím cílem je odpovědět na důležité otázky, které mohou mít nemocní ohledně klinických studií, nazývaných také klinické zkoušení (hodnocení).

- Co je to klinická studie?
- Proč jsou klinické studie důležité?
- Jak jsou klinické studie prováděny?
- Jaké jsou druhy a 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 poskytuje základní informace o důležitosti 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 vysvětlena ve slovníku pojmů.

Brožurka je navržena tak, aby Vám pomohla v rozhodování v případě, že je Vám nabídnuta účast v klinické studii. Otázky se objevují právě ve fázi, když se rozhodujete, zda do studie vstoupit. Brožurka také obsahuje vybraný seznam otázek pro lékaře, zdravotní sestru nebo koordinátora studie, týkající se jakékoli studie, na které budete spolupracovat. Můžete v ní najít také další zdroje informací o myelomu a klinických studiích.

Tato příručka je jednou z řady brožur, průvodců a informačních letáků, vydávaných IMF (International Myeloma Foundation) ve spolupráci s CMG (Česká myelomová skupina), které mapují mnoho oblastí myelomu, jeho léčby a ošetřování. Tyto materiály můžete získat na kontaktních adresách na zadní straně této brožury.

Obdobné informace můžete také najít na internetových stránkách CMG www.myeloma.cz nebo na horké lince 532 233 551, kde Vám zdravotní sestra ochotně zajistí odbornou konzultaci Vašeho problému nebo dotazu.

Obsah

Co je to klinická studie? 3
Proč jsou klinické studie důležité? 3
Jak jsou klinické studie prováděny? 3
Jaké jsou druhy a fáze klinických studií? 4
Které skutečnosti je třeba zvažovat? 7
Co v případě, bude-li učiněn zázračný objev? 7
Musím se účastnit? 8
Jak budou chráněna moje práva? 8
Jaké jsou nové léčebné postupy a klinické studie
u mnohočetného myelomu? 9
Otázky, na které bych se měl/a ptát? 10
Slovník pojmů 12
CMG NF - Česká myelomová skupina, nadační fond 14
Další zdroje informací 15
IMF – The International Myeloma Foundation 16
Poznámky a otázky 17

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 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 tak 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. Klinické studie jsou obecně považovány za nejspolehlivější způsob zkoušení nových léčebných postupů. Po několika fázích vývoje jsou klinické studie zakončeny fází III, která je rozhodující pro srovnání, který léčebný postup je lepší. Toto srovnávání je podmíněno procesem zvaným randomizace, při kterém je Vám náhodně vybrán jeden z možných léčebných postupů. Tento náhodný výběr zajišťuje lépe a objektivněji počítač než lékař. Proces randomizace je podrobněji vysvětlen v jiné části brožurky.

Nové léčebné postupy nejsou bezpodmínečně lepší než v současnosti podávaná standardní léčba. Ve skutečnosti mohou být někdy i horší. Klinické studie jsou potřebné ke zjištění, zda je léčebný postup pro nemocné prospěšný.

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

Pouze Váš lékař Vás může zařadit do klinické studie a měl/a byste znát odpovědi na všechny otázky ještě před souhlasem se zařazením. Většina studií je vyhrazena pro specifický druh nemocných a nabízejí je jen určité nemocnice. Váš lékař je nejlepší osoba, která Vám zjistí, jestli můžete být zařazen/a do nějaké, pro Vás vhodné studie.

Jak jsou klinické studie prováděny?

Existuje řada důležitých otázek, které byste měl/a položit ještě před rozhodnutím do studie vstoupit a tyto jsou obsahem zbývající části brožurky.

Koordinátor studie, většinou lékař, společně s týmem dalších osob, připravuje

pracovní plán studie nazývaný protokol. Protokol popisuje, kteří nemocní 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 organizací či více organizacemi dle platné legislativy státu. Ve Velké Británii je to Medical Research Council a v České republice Státní ústav pro kontrolu léčiv. Další ústavní kontrolní (hodnotící) radou je etická komise pro výzkum v jednotlivých nemocnicích, kde studie probíhá. Tyto kontrolní rady jsou složeny ze zdravotnických odborníků, nemocných a dalších z řad neodborníků, jako jsou duchovní, právníci apod. Rada 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 kriteria“ a jsou rozdílná pro každou studii v závislosti na jejím účelu nebo zkoumaných otázkách. Kriteria mohou zahrnovat pohlaví, fázi onemocnění (myelomu) - nově diagnostikován nebo relaps, informace o předešlé léčbě a dalších zdravotních potížích (např. ledvinné selhávání nebo srdeční obtíže).

Mnoho nemocných není zařazeno do studie, protože nesplní vstupní kriteria. 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 kriteria jsou velmi důležitou částí studie. Pomáhají chránit bezpečnost nemocného. Nemocní, kteří by mohli být poškozeni užíváním zkoušené léčby, nejsou tomuto riziku vystaveni.

V závislosti na studii a vstupních kritériích může lékař zjistit, která skupina nemocných bude mít z nového léku nebo léčebné postupu prospěch, ukáže-li se být lepším než dosavadní standardní léčba.

Jaké jsou druhy a fáze klinických studií?

Preklinické studie

Vývoj nových léků začíná v laboratoři a jen velmi málo nových myšlenek a vyvinutých léků může být předloženo jako účinná léčba pro nemocné. U léků je nejdříve hodnocena schopnost ničit buněčné linie, které jsou získány od skutečných nemocných s myelomem. Tento proces pomáhá při rozhodování jak o způsobu působení, 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

Ve fázi I studie výzkumníci testují nový lék nebo léčebný postup na malé skupině nemocných, kdy poprvé hodnotí jeho bezpečnost, stanoví hranice pro bezpečnou dávku a zjistí vedlejší účinky. Cílem fáze I studie není hodnocení účinnosti zkoušeného léku.

Fáze II

Cílem fáze II studie je hodnocení účinnosti léku a stupně dosažené léčebné odpovědi se srovnáním dosažené léčebné odpovědi u dříve používané léčby. Poté může být navržena příslušná fáze III studie.

Fáze III

Ve fázi III studie 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. 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.

Fáze IV

Fáze IV studie 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.

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 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 zařazeni 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, který nemocný je zařazen v které skupině.

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.

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

Randomizace

Je to proces, při kterém počítač náhodně zařadí nemocné ve studii do jedné či druhé léčebné skupiny. Provádí se za účelem vyhnout se zaujatosti a tím je zajištěno, 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 nejúčinnější a nejbezpečnější. Ty jsou často zmiňovány jako konečné cíle a výsledky. Typické cíle studií týkající se myelomu zahrnují: přežití, dobu do relapsu nemoci, minimální, částečnou a celkovou léčebnou odpověď.
Výsledky jsou často prezentovány na velkých lékařských setkáních 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. Zaprvé byste měli zvážit důvod, pro který do studie vstupujete. Např.:

Možné důvody ke vstupu do studie:

- S určitostí dostanete současnou nejlepší možnou léčbu nebo novou léčbu, která by pro Vás byla jinak nedostupná
- Vývoj Vašeho onemocnění je v průběhu studie pečlivě sledován specialisty v oboru – 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 k odmítnutí vstupu do 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)
- Dostanete vhodnou léčbu, i když se studie nezúčastníte

Co v případě, bude-li učiněn zázračný objev?

Co když se objeví nové informace nebo zázračný objev v době, kdy budu ve studii?

Protože klinické studie mohou trvat i několik let, mohou se v této době 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.

Musím se účastnit?

Ne, studie se účastnit nemusíte. Je to Vaše vlastní rozhodnutí a vstup do studie by neměl být ukvapený. Bude Vám poskytnuta veškerá podpora, informace a čas k rozhovoru s rodinou a přáteli před tím, než učiníte své rozhodnutí.

Ve většině případů, jestliže se rozhodnete studie nezúčastnit, nebude to mít vliv na standardní léčbu, kterou obdržíte, ani na vztah s Vaším lékařem. Dokonce, i když se rozhodnete do studie vstoupit, můžete z ní kdykoli vystoupit bez udání důvodu. Jste-li uprostřed léčby nebo léčebného postupu z některých studií vystoupit není možné.

Jak budou chráněna moje práva?

Jaká jsou moje práva a jak budou chráněna?

Všichni nemocní by měli obdržet písemné informace o studii, které si ponechají a mohou se na ně odvolávat.

Před zahájením a v průběhu klinické studie máte řadu práv a Vaše zájmy budou chráněny několika způsoby. Vědomí tohoto Vám může pomoci cítit se klidnější při rozhodování a chránit Vás před léčbou nebo procedurami, které nechcete podstoupit.

Jak již bylo zmíněno, vstoupíte-li do studie nebo ne, záleží pouze na Vás a máte právo kdykoli odstoupit. 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. Zjistí-li, že léčebný postup nebo lék Vás poškozuje, budete ze studie rovnou vyčleněn.

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.

Jedním z Vašich práv je právo na informace a informovaný souhlas. 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 ne. 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. Jak již bylo zmíněno, můžete být požádán k podepsání nového formuláře, objeví-li se nové

informace v souvislosti se studií. Informovaný souhlas znamená, že máte právo na informace a klást otázky kdykoli v průběhu studie.

Podpisem se nezavazujete k setrvávání ve studii. Můžete stále kdykoli odstoupit.

Jaké jsou nové léčebné postupy a klinické studie u mnohočetného myelomu?

V současné době probíhá velké množství výzkumných projektů v oblasti hledání účinnější a méně toxické léčby. Ve vývoji je mnoho nových léčebných postupů a některé z nejvíce slibných jsou popsány níže. Léčebné postupy zde popisované nejsou vždy vhodné pro všechny nemocné a nemohou být ve skutečnosti široce přístupné. V případě, že máte zájem o vyzkoušení nového léčebného postupu nebo o informace o těch, které jsou níže uvedeny, měl/a byste o tom pohovořit se svým lékařem nebo zdravotní sestrou.

Thalidomid již prokázal svoji účinnost v léčbě myelomu a v současnosti je jeho účinnost testována v klinických studiích u relapsu nemoci, samostatně v iniciální (vstupní) léčbě nebo v kombinaci se steroidy a/nebo chemoterapií v léčbě udržovací. Thalidomid není účinný u všech nemocných a léčba je spojena s vedlejšími nežádoucími účinky, které mohou u některých nemocných převážit jeho užitek.

Více informací o thalidomidu je dostupných prostřednictvím IMF a CMG.

Skupina léků úzce spojovaná s thalidomidem, která se testuje pro léčbu myelomu, se nazývá ImiDs (imunomodulační léky). U těchto léků se předpokládá několik způsobů účinku proti myelomu. Jedním z nich je potlačování novotvorby cév, což ztěžuje přežívání myelomových buněk. Je naděje, že budou mít větší účinnost a menší nežádoucí účinky ve srovnání s thalidomidem.

Dalším slibným lékem pro léčbu myelomu jsou Velcade® (dříve známý jako PS-341) a Trisenox® (arsenic trioxid). Velcade tlumí funkci důležité molekuly zvané proteazom, která napomáhá přežívání myelomovým buněk. Trisenox prokázal své účinky v léčbě mnoha solidních nádorů, stejně tak i v léčbě akutní plazmocytární leukémie a v současnosti je součástí studií i u myelomu. Mechanizmus účinku není zcela jasný, ale je vícesložkový, včetně přímého působení na přežívání myelomových buněk.

Transplantace – lékaři po celém světě zkouší nový typ alogenní transplantace kmenových buněk, nazývaná mini transplantace (také známá jako nemyeloablativní transplantace). Při této transplantaci se předpokládá nižší riziko komplikací než při standardní alogenní transplantaci. Další transplantační

technikou, která je zkoumána ve studiích na celém světě, je tandemová transplantace. Ta zahrnuje provedení druhé autologní transplantace ihned po zotavení se z transplantace první, s cílem pokusit se o prodloužení délky remise onemocnění. Protože tyto přístupy ještě nebyly úplně vyhodnoceny, měly by probíhat jen na pracovištích, která mají s transplantacemi zkušenosti a pouze v rámci klinických studií.

Další nové přístupy zahrnují užití monoklonálních protilátek, které napadají myelomové buňky, zatímco zdravých buněk se nedotýkají. Dále vakcíny, které se pokoušejí posílit schopnost imunitního systému útočit na myelomové buňky a cílená radioterapie (ozařování), jejíž cílem je přímým ozařováním ničit myelomové buňky bez působení na zbytek organizmu.

Mnoho nových lékových kombinací, které se v praxi již užívají, je nyní testováno v klinických studiích, jako například T-Dex (thalidomid a dexametazon) a CTD (cyklofosfamid, thalidomid a dexametazon).

Čím více je zjištěno o těchto experimentálních léčebných postupech, tím se jejich role vedle tradiční léčby stává jasnější. V době, kdy bude prokázána jejich větší účinnost a bezpečnost mohou nahradit některé ze současných léčebných postupů. Bohužel, jak již bylo dříve zmíněno, ne všechny nové léčebné postupy jsou lepší než současné standardní a to je důvodem, proč je velmi důležité důsledně provádět klinické studie k testování těchto nových léčebných postupů.

Otázky, na které bych se měl/a ptát?

Studie

- Jaký je účel a fáze studie?
- Proč si myslíte, že nový testovaný lék nebo léčebný postup bude účinný?
- Kdo studii organizuje a kdo ji přezkoumává a schvaluje?
- V případě, že budu ve studii užívat nový lék a budu z něj mít prospěch, mohu jej užívat i po ukončení studie?
- Jak jsou kontrolována data ve studii a bezpečnost nemocného?
- Kam jsou předávány výsledky a informace o studii? Kdy budou publikovány?
- Jaká je doba trvání studie a kolik dalších nemocných bylo ve studii léčeno?

Možná rizika a užitek

- Jaká jsou krátkodobá a dlouhodobá rizika, vedlejší nežádoucí účinky a prospěch?
- 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, lékařských testů nebo procedur budu podstupovat v průběhu studie? Mohou být bolestivé? Můžete je srovnat s tím, co bych podstoupil mimo studii?
- 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 společnosti? Např. doprava do centra studie, existuje grant pro přepravu nemocných?
- Jak dlouho bude studie trvat?
- Je požadováno dlouhodobé sledování?

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.

Institutional Review Board (IRB) ve VB a Etická komise (EK) v ČR: Ústavní kontrolní (hodnotící) rada – skupina vědců, lékařů, duchovních a zástupci laické veřejnosti ze zdravotnických zařízení, kde je studie prováděna. IRB a EK přezkoumává a musí schvalovat protokoly všech studií financovaných vládní institucí, aby svým navržením chránily nemocné, které se studií účastní.

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.

Onkolog: Lékař, jehož specializací je léčba nádorových onemocnění.

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

CMG NF - Česká myelomová skupina, nadační fond

Česká myelomová skupina (CMG) působí od roku 1996. V rámci svého poslání se snaží v ČR organizovat u vybraného nádorového onemocnění - mnohočetného myelomu - klinické aktivity na standardní světové úrovni, a poskytnou tak nemocným optimální péči a rychlou dostupnost nejperspektivnějších postupů.

Pro urychlení svých cílů v podmínkách ČR se CMG rozhodla založit nadační fond (5. 11. 2001), jehož koordinujícím a zakládajícím centrem je Interní hematoonkologická klinika ve Fakultní nemocnici Brno a Lékařská fakulta Masarykovy univerzity Brno.

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

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)
- Občasník (aktuality, dotazy, kontakty)
- Zajištění 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
- Připravuje se Seminář pro nemocné a jejich rodiny

CMG NF

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

Lékařská fakulta, Komenského nám. 220/2, 662 43 Brno

Tel: 532 233 551, fax: 532 232 413

http://www.myeloma.cz

e-mail: r.hajek@fnbrno.cz, katrin_s@volny.cz

www.myeloma.cz

- CMG Občanské sdružení
- CMG Nadační fond
- Mnohočetný myelom
- Studie/výzkum
- Aktivity & události
- Informace pro nemocné
- Informace pro sponzory

Další zdroje informací

a) v českém jazyce:

www.myeloma.cz - Česká myelomová skupina

www.linkos.cz - Česká onkologická společnost

www.koc.cz - Komplexní onkologické centrum

www.onkologie.cz - Zdravotnické noviny (onkologie)

www.mzcr.cz - Ministerstvo zdravotnictví

b) v anglickém jazyce:

www.myeloma.org - The International Myeloma Foundation

www.multiplemyeloma.org - MMRF: Multiple Myeloma Research Foundation

IMF – The International Myeloma Foundation

„Jeden člověk může učinit změnu, dva mohou učinit zázrak."

Brian D. Novis, zakladatel IMF

Myelom je málo známý, složitý a často nesprávně diagnostikovaný nádor kostní dřeně, který napadá a ničí kosti. Myelom se vyskytuje přibližně u 75 až 100 tisíc lidí ve Spojených Státech a každý rok se diagnostikuje více než 14 500 případů. Ačkoli v současnosti neexistuje postup pro vyléčení myelomu, lékaři mají k dispozici mnoho postupů, jak pomoci nemocným s myelomem lépe a déle žít.

The International Myeloma Foundation (IMF) byl založen v roce 1990 Brianem a Susie Novisovými krátce potom, co byl u Briana ve 33 letech diagnostikován myelom. Byl to právě Brianův sen, že by nemocní mohli mít v budoucnu snadný přístup ke zdravotnickým informacím a duševní podporu po celou dobu boje s myelomem. Brian založil IMF se třemi cíly: léčba, vzdělávání a výzkum. Snažil se připravit široké spektrum služeb pro nemocné, jejich rodiny, přátele a pečovatele. Ačkoliv Brian zemřel 4 roky po stanovení diagnózy, jeho sen přetrval. IMF dnes registruje víc než 100 000 mezinárodních členů. IMF byla první organizací, která se věnovala pouze myelomu, a v současné době zůstává největší organizací tohoto typu.

IMF poskytuje programy a služby na pomoc výzkumu, diagnostice, léčbě a organizování péče pro nemocné s myelomem. IMF se stará o to, aby nikdo nemusel čelit boji s myelomem sám.

Poznámky a otázky:

Poznámky a otázky:

Poznámky a otázky:

Poznámky a otázky:

PROHLÁŠENÍ: Informace v této brožuře nemají nahradit doporučení Vašeho ošetřovatelského týmu. Právě oni jsou nejlepšími osobami, kterým můžete položit jakékoli otázky týkající se Vašeho stavu. Tyto informace jsou výsledkem konzultace s nemocnými a jsou ověřeny zdravotnickými odborníky.

ODKAZY: Informace týkající se léčby myelomu v této brožuře jsou založeny na „Guidelines on the diagnosis and management of multiple myeloma“ (průvodce diagnostikou a léčbou mnohočetného myelomu), sestaveny UK Myeloma Forum zastupující British Committee on Standards in Haematology (komise pro dodržování standardů v hematologii), platné pro Velkou Británii. A dále dle „Diagnostika a léčba mnohočetného myelomu“ – doporučení České myelomové skupiny a myelomové sekce České hematologické společnosti pro diagnostiku a léčbu mnohočetného myelomu. Doporučení byla vytvořená týmem specialistů z České a Slovenské republiky. Obsahují plnohodnotná a všeobecně akceptovaná guidelines (pokyny) pro diagnostiku a léčbu mnohočetného myelomu v rozsahu obvyklém pro vyspělé evropské země.

Cílem těchto průvodců je poskytovat doporučení na podkladě důkazů nejlepší současné praxe pro diagnostiku a léčbu myelomu a přidružených nemocí.

Klinické studie a myelom. Základní informace pro nemocné.
Ve spolupráci s International Myeloma Foundation
vydala Česká myelomová skupina. Brno 2005

Česká myelomová skupina, nadační fond
LF, Komenského nám. 220/2, 662 43 Brno
Tel: 532-233-551
Fax: 532-232-413
www.myeloma.cz
cmg@myeloma.cz

ČESKÁ MYELOMOVÁ SKUPINA
CZECH CMG MYELOMA GROUP
NADAČNÍ FOND

INTERNATIONAL MYELOMA FOUNDATION
EDUCATION • RESEARCH • SUPPORT • ADVOCACY
Until There is a Cure... There is the IMF