

Kliniska prövningar för Cystisk Fibros

Information till patienter

Hur kan patienter medverka i utvecklandet av nya läkemedel?



European Cystic Fibrosis Society

Clinical Trials Network



Version 1.1, May 2011 (Swedish)

Innehållsförteckning

FRISKRIVNING AV ANSVAR	2
1. Introduktion.....	3
2. Typer av läkemedel	4
3. Vad är en klinisk prövning och vad är målet?.....	5
4. Hur går det till att utveckla ett läkemedel?.....	6
5. Varför är barn också inblandade i kliniska prövningar?	7
6. Hur garanterar man frivilligheten att delta?	8
7. Hur kontrollerar man säkerheten?.....	9
8. Vilka krav kommer att ställas på mig om jag deltar i en klinisk prövning?	11
9. Vad bör man tänka på innan man deltar i en klinisk prövning?	13
10. Vilken roll har European Cystic Fibrosis Society – Clinical Trials Network (ECFS-CTN)?	14
11. Vad måste jag göra om jag vill delta i en klinisk prövning? Hur kan jag få information om planerade och pågående kliniska prövningar?.....	15
12. Ordlista	16
13. Referenser och ytterligare information:	18
14. Lista med web-adresser till några nationella CF-organisationer (patientorganisationer) i Europa .	19

FRISKRIVNING AV ANSVAR

Den information som ges i den här informationsbroschyren från ECFS-CTN " Kliniska prövningar för Cystisk Fibros Information till patienter" är enbart avsedd att ge allmän information. ECFS-CTN ger inga utfästelser eller garantier av något slag, varken uttryckliga eller underförstådda om fullständighet, riktighet, tillförlitlighet, lämplighet eller tillgänglighet med avseende på informationens innehåll i denna broschyr. Vilken tilltro ni har till denna information är alltså på egen risk.

Under inga omständigheter kommer vi att vara ansvariga för förluster eller skador vilka inkluderar indirekta eller efterföljande förluster eller skador, eller förluster eller skador som uppkommer vid förlust av data eller vinster som kan härröra från, eller uppstå i anslutning till användningen av den här informationen.

Informationsbroschyren innehåller länkar till andra web-sidor, vilka är utom kontroll av ECFS-CTN. Vi har inte kontroll över beskaffenheten av, sammansättningen av och tillgängligheten av dessa sajter. Inkluderandet av länkar betyder inte nödvändigtvis en rekommendation eller godkännande av dem.

1. Introduktion

Den här brochyren avser att beskriva hur nya läkemedel utvecklas och på vilket sätt som cystisk fibros (CF)- patienter kan medverka till att göra så att denna forskning ska gå så fort och så säkert som möjligt.

Cystisk Fibros (CF) är en ärftlig sjukdom. De dominerande symtomen är återkommande lunginfektioner och dålig matsmältning. Med moderna mediciner är det nu vanligt att leva upp till medelåldern, trots att diagnosen ställts redan i barnåldern, under förutsättning att vissa förhållanden har uppnåtts. När patientens hälsa försämras så ökar sjukdomens komplexitet, kostnaderna för behandlingarna ökar och livskvaliteten sjunker. Sjukdomen förekommer i hela världen. Den är lika vanlig hos både män och kvinnor och är den vanligaste, livshotande, genetiska, medfödda sjukdomen som drabbar den kaukasiska befolkningen. Ändå klassificeras den som såsom en sällsynt ("orphan") sjukdom. Förekomsten inom 27 EU länder är 0.74 per 10 000 och omkring 30 000 CF patienter finns registrerade i 35 europeiska länder.

Den genetiska orsaken till CF har varit känd i 20 år och den beror på en felaktighet i båda kopiorna av den gen som kodar för CFTR-proteinet. Cystisk Fibros är en **autosomalt recessiv sjukdom**. Det betyder att den är lika vanlig hos båda könen ("autosomal" betyder att genen inte finns på könskromosomerna). "Recessiv" betyder att bara personer med ett fel i båda sina kopior av CFTR genen är sjuka. Personer med CF har således ärvt en defekt CF-gen från vardera av sina föräldrar. Föräldrarna är friska, för de bär bara på en defekt kopia av CF-genen, och de kallas anlagsbärare. När båda föräldrarna har en defekt kopia av CF-genen är risken vid varje graviditet $\frac{1}{4}$ (25%) att fostret kommer att få CF.

Vid CF finns det en avvikelse i den genetiska koden och det protein som kallas CFTR fungerar inte normalt.

CFTR-proteinet möjliggör transport av salt i olika organ. När inte CFTR-proteinet fungerar normalt i luftvägarna så kan inte bakterier och andra sjukdomsframkallande organsimer elimineras och de orsakar då kroniska luftvägsinfektioner. I matsmältningssystemet resulterar den defekta salttransporten i minskad utsöndring av matsmältningssyzymer vilket ger påverkan på matsmältningen och dålig viktuppgång.

Kunskapen om hur den defekta genen leder till frånvaro av, eller felaktigt fungerande protein, öppnade upp en ny era i forskningen kring Cystisk Fibros. Flera små kemiska substanser har identifierats vilka delvis kan övervinna den basala defekten av CF i cellförsök. Dessa nya strategier provas nu på patienter. Därtill är forskning för att förbättra behandlingen av lunginfektioner och av matsmältningsproblemen fortfarande viktig.

Läkemedelsbolagen vet att det är en relativt liten potentiell marknad för att sälja läkemedel för en sällsynt sjukdom som CF. **Lyckligtvis har det stiftats lagar i syfte att uppmuntra till framtagande av läkemedel för sällsynta sjukdomar.**

2008 uppnåddes det en milstolpe i kampen mot CF. För första gången någonsin visade det sig i små och mellanstora studier att substanser som syftar till att korrigera grundorsaken till sjukdomen, så kallade sjukdomsmodifierande substanser, inte var toxiska, tolererades väl och hade en viss effekt. Dessa substanser, samt en annan ny substans som minskar sjukdomens progression, behöver nu testas på ett stort antal patienter.



2. Typer av läkemedel

- **CFTR modulerare:** Dessa behandlingar avser att korrigera den försämrade funktionen i det felaktiga CFTR-proteinet. Det finns olika möjliga metoder vilka är relaterade till vissa typer av mutationer i CFTR-genen. Behandlingarna är lovande för de riktar sig mot den grundläggande defekten (så kallade "sjukdomsmodifierande substanser"). Det betyder att de är avsedda att korrigera grundorsaken till CF och inte bara de efterföljande konsekvenserna som exempelvis lunginflammationer. Exempel på vad som för närvarande prövas på patienter är VX770 och VX809 (Vertex) och Ataluren® (PTC Therapeutics).
- **Återställande av vätska på lungans yta:** Dessa behandlingar riktar sig mot andra proteiner än CFTR vilka har en liknande funktion (transport av salter genom cellmembranen). Detta kan leda till ökad transport av lugftvägarnas slemlager.
- **Förändring av slemmet:** Alla känner säkert till rhDNase eller Pulmozyme®. RhDNase förstör DNA i slemmet så det blir mindre segt. Detta läkemedel har blivit tillgänglig efter många års prövning på stora grupper av CF-patienter. Hyperton koksalt är också tillgängligt som ett läkemedel och flera andra produkter finns i kliniska prövningar.
- **Anti-inflammatorisk behandling:** Dessa substanser syftar till att minska den inflammatoriska processen i lungorna genom att använda flera olika metoder.

Ett exempel på en sådan produkt är Ibuprofen. Flera andra molekyler testas nu i kliniska prövningar.

- **Antiinfektionsbehandling:** Dessa läkemedel är antibiotika vilka attackerar mikroorganismer som orsakar akuta eller kroniska lunginfectioner. Exempel är Tobramycin (TOBI[®]) och Acitromycin. Andra produkter som testas i kliniska prövningar är mestadels antibiotika som man vet är aktiva mot *Pseudomonas aeruginosa* och som utformats för aerosoler. Eftersom organismer som *Pseudomonas aeruginosa* kan utveckla resistens, så är det viktigt att ha tillgång till olika typer av antibiotika.
- **Nutrition:** Detta innefattar kosttillskott som t.ex. vitaminer, men också enzymer som Creon[®] vilket hjälper till att bryta ner födan.
- **Andra behandlingsstrategier:** Genterapi är fortfarande i en tidig utvecklingsfas. Utmaningen ligger i att hitta vägar för att föra in normala kopior av den defekta genen vid CF och att få dessa att uttrycka sig (förändra informationen så att det bildas en korrekt CFTR).

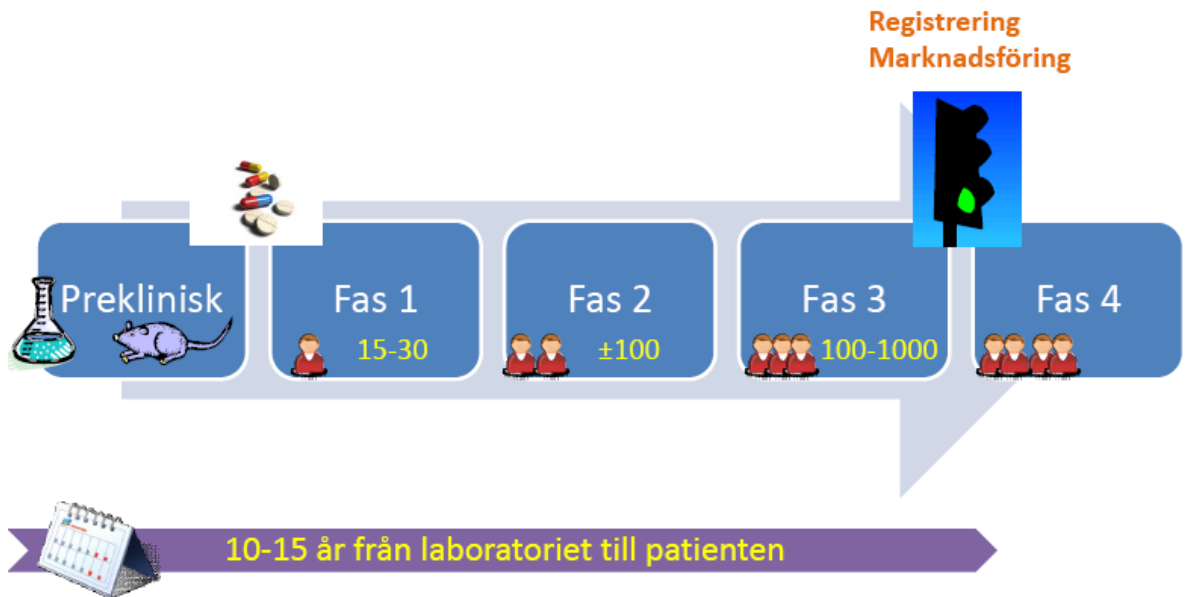
3. Vad är en klinisk prövning och vad är målet?

En klinisk prövning innebär att man på frivilliga försökspersoner studerar om en tänkbar behandling är säker och verksam.

”Verksam” betyder att drogen är bättre än den behandling som används för närvarande och att den får patienten att må bättre.

Inget läkemedel är helt fritt från biverkningar, men ett läkemedel anses vara säkert om nyttan av det överstiger de tänkbara negativa effekterna av det. För att garantera att en tänkt klinisk prövning ska gå rätt till så finns det olika tillsynsmyndigheter i olika länder. Deras arbete är att se över säkerhets-och effektivitetsresultaten av de prekliniska studierna och att kontrollera att syftet med och procedurerna i den kliniska prövningen är berättigade och acceptabla. Det är nödvändigt att ha myndigheternas godkännande innan en klinisk prövning kan starta. Ett exempel på detta är att det i varje land finns en etisk kommitté som måste granska de kliniska prövningarna för att se till att rättigheter och välmående beaktas hos de patienter som deltar i kliniska prövningar (se nedan).

4. Hur går det till att utveckla ett läkemedel?



När ett nytt läkemedel utvecklas så utförs de första försöken i vad som kallas en **preklinisk fas**. Det betyder att substansen testas noggrant i ett laboratorium, dels i celler och dels i djurförsök. Om dessa studier visar en möjlig effekt utan att vara giftigt så kan det fortsätta in i en efterföljande klinisk fas då den testas i klinisk prövning på människor.

Efter en preklinisk fas kommer tre efterföljande faser av försök som är nödvändiga innan en drog kan godkännas av myndigheterna och därefter marknadsföras.



I fas 1 testar forskare en experimentell substans, eller behandling, på en liten grupp människor (omkring 20 stycken vanligtvis friska frivilliga försökspersoner) i syfte att utvärdera säkerheten i allmänhet, vilken dos som är säker och för att identifiera biverkningar. Behandlingsperioden per patient är bara ett par dagar upp till ett par veckor.



I fas 2 ges den experimentella substansen, eller behandlingen, till en större grupp av patienter med sjukdom, i fallet med CF (20-400 patienter) för att se hur bra det fungerar och för att vidare utvärdera dess biverkningar. Behandlingsperioden per patient är omkring 1-3 månader.



I **fas 3** involveras fler patienter (100-1000 patienter) för att bekräfta att det är verksamt, följa behandlingseffekterna, jämföra det med den vanliga behandlingen (om den visar bättre effekt kan det bli den nya standardbehandlingen) och samla information som kan möjliggöra att den experimentella substansen kan användas säkert. Behandlingsperioden kan röra sig från omkring en månad upp till mer än ett år.

Det är först efter att fas 3-studien har avslutats på ett lyckosamt sätt som en substans kan godkännas av myndigheterna och därefter kan marknadsföras som läkemedel.



Därefter är läkemedlet i **fas 4** och information om långtidsbiverkningar och fördelar med den samlas in från alla patienter som använder läkemedlet.

Det kan ta 10-15 år mellan det att en substans upptäcks i ett laboratorium tills dess att den är färdig att skrivas ut till patienter. Det är endast en liten procent av de testade kandidatsubstanserna som kommer att nå slutet av processen. Detta gör att det är mycket kostsamt för läkemedelsbolag att utveckla läkemedel, särskilt som CF är en "sällsynt sjukdom" och att marknaden för att försälja dessa läkemedel (också kallade "orphan drugs") kommer att vara relativt liten. Lyckligtvis har EU skapat ett särskilt regelverk så att det ändå skall vara fördelar för ett bolag att arbeta med att utveckla "orphan drugs". Om du vill läsa mer om detta kan du gå till Eurordis hemsida <http://www.eurordis.org>

5. Varför är barn också inblandade i kliniska prövningar?

- CF är en sjukdom som **drabbar barn från födelsen**. Uppföljning och behandling syftar till att förebygga att sjukdomen progredierar redan från tidig ålder.
- **"Ett barn är inte en liten vuxen"**: Det finns vissa åldersrelaterade skillnader i metabolismen som gör att barn reagerar annorlunda på en substans. Det är därför inte säkert eller effektivt att bara ändra på dosen för ett läkemedel som är rekommenderat för vuxna. Dessutom behövs ofta en annan beredningsform för små barn (som exempel mixtur i stället för tablett).
- Enligt **det europeiska regelverket** är det därför nödvändigt för läkemedelsbolagen att kunna presentera en plan för testning på barn "pediatric investigation plan"(PIP)



när de prövar en ny substans. Det är en utvecklingsplan för att nödvändig data skall erhållas genom att utföra prövningar på barn, så att det är säkert att utföra dem, för att få godkännande att använda substansen på barn. Man kan hitta mer information om detta på EMA:s (European Medicines Agency) hemsida <http://www.ema.europa.eu>

Kliniska prövningar för CF involverar också små barn. Dessa görs förstås aldrig utan att föräldrarna är informerade och har givit sitt godkännande. Dessutom kan man tillfråga äldre barn och tonåringar om de också ger sitt godkännande att delta. Detta kallas "medgivande".

6. Hur garanterar man frivilligheten att delta?

Information och Informerat Samtycke

Informerat samtycke är en process för att lära sig de viktigaste faktorerna i en klinisk prövning innan man fattar beslut om man vill delta eller inte. De läkare och sjuksköterskor som är inblandade i den kliniska prövningen förklarar detaljerna i studien så att det ska hjälpa en person att fatta beslut om de vill, eller inte vill, delta i studien. Forskningsteamet tillhandahåller ett informerat samtyckesdokument som innehåller detaljer om studien, vilket syftet är, hur länge den skall fortgå, vilka procedurer som ingår och vilka som är kontaktpersoner. Risker och tänkbara fördelar förklaras i det skriftliga informerade samtyckesdokumentet. Deltagaren beslutar sig sedan för om han vill delta och bekräftar detta genom att signera dokumentet.

Ett informerat samtycke är inte ett kontrakt och deltagaren kan när som helst dra sig ur studien. Det informerade samtycket säkerställer att deltagarna kan ställa frågor och få svar både före, under och efter den kliniska prövningen. Man kan diskutera det informerade samtycket med familj och vänner och man kan ta med någon till mötet.

En person som nekar att vara med i en studie riskerar inte att påverka sin nuvarande eller framtida medicinska vård och kommer inte att bestraffas eller förlora några förmåner som de annars är berättigade till.

Varje person har rätt att förstå innebörden, riskerna och fördelarna med studien och att ge sitt medgivande eller inte ge sitt medgivande till att delta.

7. Hur kontrollerar man säkerheten?

I en klinisk prövning är det sponsorn (vanligen ett läkemedelsföretag) och de medverkande prövningsledarna som är huvudansvariga för att genomföra den kliniska prövningen. Det finns emellertid ett flertal regelverk och kommittéer som bidrar till att kontrollera processen:

a. Regler för kliniska prövningar

Det finns särskilda regler som är skapade för att säkerställa att personer som deltar i kliniska prövningar ska behandlas så säkert som möjligt. I Europa är detta en av uppgifterna för European Medicines Agency (EMA). I USA handhas dessa frågor av Food and Drug Administration (FDA).

Dessa regler kallas för **”Good Clinical Practice”** eller **”GCP”**.



Ovanstående myndigheter kan utföra inspektioner av kliniker där man gör kliniska prövningar för att kontrollera att man följer GCP-regler och för att bevaka deltagarnas rättigheter. Även kvaliteten på och korrektheten i resultaten kontrolleras.

b. Etikprövningskommitté (Institutional Review Board, IRB)

En Etikprövningskommitté är en oberoende institution som skall **skydda rättigheterna, säkerheten och välbefinnandet** hos personer som deltar i forskningsprojekt. Alla institutioner som är involverade i forskning (som universitet eller sjukhus) måste rådgöra med en sådan kommitté. I den finns både personer med medicinsk/vetenskaplig bakgrund och lekmän (t.ex. en specialist inom etik). En Etikprövningskommitté har befogenheten att godkänna, kräva Anpassningar av eller neka till forskning.

Etikprövningskommitté (IRB) kan också heta

- Independent Ethics Committee (IEC)
- Ethics Review Board (ERB)
- Ethics Committee (EC)

De huvudsakliga uppgifterna för Etikprövningskommittén är

1. Godkännande/tillstånd för att genomföra en klinisk prövning
2. Uppföljning av hur studien/prövningen fortskrider
3. Säkerställa att alla regler följs



c. Data Safety Monitoring Board (Data och säkerhetsgranskande styrelse)

Säkerhetskommittén, "Data Safety Monitoring Board" (DSMB), är en oberoende kommitté som granskar data under tiden en klinisk prövning pågår för att försäkra sig om att deltagarna inte utsätts för onödiga risker. En DSMB kan rekommendera att en prövning ska stoppas om det finns oro för säkerheten eller för att de tänkta testresultaten inte har uppnåtts.

Ibland kallas det i stället för "Data Monitoring Committee" eller "DMC". Det är inte alla kliniska prövningar som behöver en DSMB eller DMC.

8. Vilka krav kommer att ställas på mig om jag deltar i en klinisk prövning?

Studieteamet kommer att beskriva och förklara **den fullständiga planen för besöken och de ingående procedurerna** för dig. Detta kommer att variera mellan olika studier. Studiens längd kan variera mellan ett par veckor och upp till mer än ett år.

Det kommer naturligtvis att vara mycket viktigt att **ta studiesubstansen/att utföra behandlingen** och att ta de vanliga medicinerna i enlighet med de givna instruktionerna. Detta kallas för "följsamhet". För vissa studier kan det komma att innebära begränsningar i livsstil och/eller dietrestriktioner som t.ex. användningen av preventivmedel eller restriktioner beträffande alkohol eller tobak.

Du kommer att följas upp vid **olika besök i studien**. När det är möjligt kommer dessa att kombineras med dina vanliga sjukhusbesök. Ibland kan besöken utföras som ett hembesök eller telefonsamtal. För mer komplexa studier kan det bli tal om att ligga på sjukhuset någon natt.

Två viktiga besök är screeningbesöket och randomiseringsbesöket:

Screeningbesöket: Detta är det första besöket i en klinisk prövning. Det kan inte ske förrän det informerade samtycket är undertecknat. Syftet med besöket är att kontrollera om en tänkt studiedeltagare uppfyller alla inklusions och exklusionskriterier i det specifika protokollet. (Som exempel att lungfunktionsresultaten är inom vissa intervall). Utgångsprover i form av blod, urin eller upphostningsprov kan tas. Om allt uppfyller kraven kan deltagaren fortsätta delta i studien. Syftet med dessa inklusions- och exklusionskriterier är att hitta lämpliga deltagare och att bevara deras säkerhet.

Randomiseringsbesöket: Randomisering innebär att det är slumpen (slump=random) som avgör vilken slags behandling som patienten kommer att få (i den händelse två olika behandlingar skall jämföras med varandra); eller är det slumpen som får avgöra om en patient kommer att få aktiv substans eller placebo (i en placebokontrollerad studie). Det finns också möjlighet för andra typer av upplägg. Vid besöket, eller alldeles efter besöket börjar patienten ta studieläkemedlet.

Ett placebo är ett overksam piller, mixtur eller pulver som inte har någon behandlingseffekt. I kliniska prövningar jämförs ibland effekten av en försökssubstans med effekten av placebo för att kunna bedöma effektiviteten av en försökssubstans. Denna typ av design används bara om det har bedömts vara etiskt försvarbart i just den specifika studien.

De flesta kliniska prövningar är dubbelblinda. Det betyder att varken patienten eller läkarna vet vilken behandling som patienten får, eller om patienten får placebo. Denna blindning kan bara brytas om det är särskilda skäl för det.

Exempel på procedurer:

Vanliga:

Läkarundersökning
Spirometri/andra lungfunktionstest
EKG
Blod och urinprov
Upphostningsprov
Frågeformulär
...

Mindra vanliga:

Särskilda test såsom nasal potentialdifferens (NPD)
Hörseltest
Svetttest
Avföringsprov
...

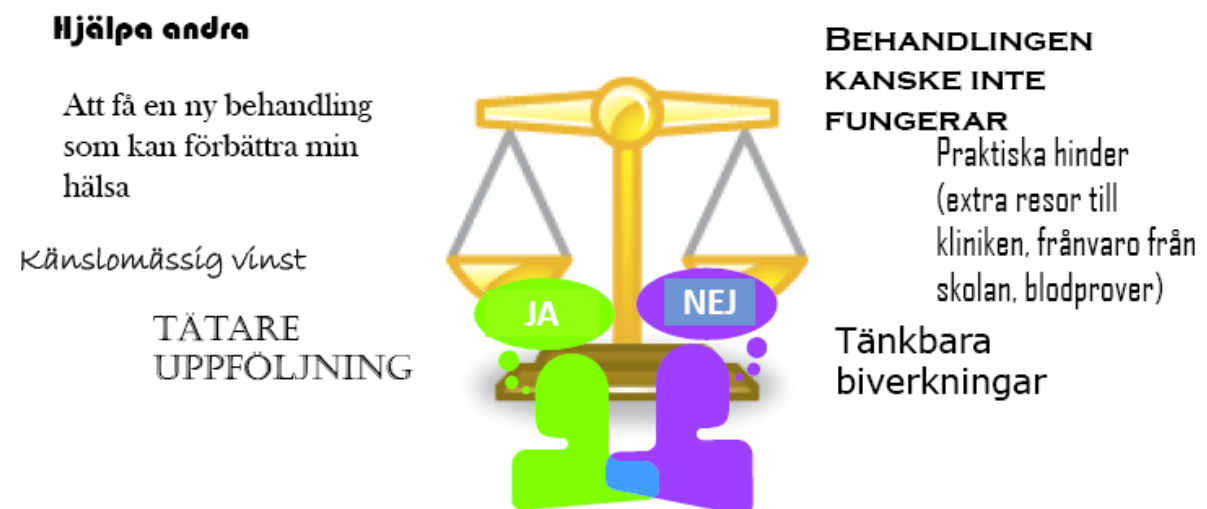
9. Vad bör man tänka på innan man deltar i en klinisk prövning?

Man bör veta så mycket som möjligt om prövningen och våga ställa frågor till sjukvårdspersonalen om den.

Följande frågor kan vara ett hjälpmedel: En del av svaren på frågorna hittar man i det informerade samtycket.

- Vad är syftet med studien?
- Vilken typ av patienter kommer att delta i studien?
- Vad är det som gör att forskarna tror att den experimentella substansen kan vara verksamt? Har den testats tidigare?
- Vilka slags tester och vilken experimentell behandling är det fråga om?
- Hur ställer sig de tänkbara riskerna, biverkningarna och fördelarna i studien jämfört med den nuvarande behandlingen?
- Hur kan den här studien påverka mitt dagliga liv?
- Hur länge kommer studien att pågå?
- Är det nödvändigt med sjukhusvistelser?
- Vem betalar för den experimentella behandlingen?
- Kommer man att få ersättning för några utlägg?
- Vilken slags långtidsuppföljning blir det efter studien?
- Hur kommer man att få reda på om den experimentella behandlingen fungerar? Kommer jag att få reda på resultaten?
- Vem kommer att ansvara för min vård?

Det finns många faktorer som kan motivera eller avskräcka patienter att delta i kliniska prövningar:



10. Vilken roll har European Cystic Fibrosis Society – Clinical Trials Network (ECFS-CTN)?

För en ovanlig sjukdom som CF är det viktigt **att olika länder samarbetar** så mycket som möjligt. Det behövs också ett nära samarbete mellan patienter, patientorganisationer, läkemedelsindustri och akademiska forskningsinstitutioner.

När man försöker **standardisera nya eller existerande arbetsmetoder** (till exempel hur man mäter lungfunktion eller hur man genomför svetttest), så är det viktigt att föra en internationell dialog. Om alla arbetar på samma sätt så är det mindre variationer i resultaten och det betyder att färre patienter måste delta i den kliniska prövningen för att säkerställa samma resultat.

För att underlätta ett sådant samarbete så har European Cystic Fibrosis Society (ECFS), vilket är en europeisk organisation med inriktning på Cystisk Fibros, tagit ett initiativ att starta "Clinical Trial Networks" (CTN). För närvarande är sammansättningen CF-specialister från 18 centra i 8 länder och det kommer att utvidgas till fler länder och fler CF-kliniker under 2012.

En viktig uppgift för ECFS-CTN är att **låta en grupp experter granska nya forskningsprotokoll**. De tittar på den vetenskapliga kvalitén, hur möjligt det är för patienter att delta och på hur stor den terapeutiska nyttan den testade drogen skulle kunna få. De centra som är med i CTN kommer bara att delta i kliniska prövningar som har godkänts av denna granskning.

Syftet med CTN är att snabbare få ut mediciner till patienterna genom att på olika sätt arbeta för en hög forskningskvalitet.

Det finns mer information om CTN-aktiviteter på <http://www.ecfs.eu/ctn/>.

11. Vad måste jag göra om jag vill delta i en klinisk prövning? Hur kan jag få information om planerade och pågående kliniska prövningar?

För att snabbare få ut mediciner till patienter så är det nödvändigt att genomföra kliniska prövningar och nödvändigt att patienter deltar i dem. Det är emellertid så att även om du vill delta i en klinisk prövning så kan du bli utestängd beroende på de inklusions/exklusionskriterier som är givna för ett visst protokoll, och/eller för antalet patienter som forskarna behöver. Om du vill delta i en klinisk prövning så ska du först ta kontakt med din läkare eller någon annan person vid ditt CF-center. De är de bästa att kunna svara på dina frågor. Eftersom de känner din bakgrund så kan de ge råd om i vilka kliniska prövningar som du skulle kunna delta och också säga om du skulle passa i de inklusionskriterier som de studier som pågår vid centret.



- **Nationella patientorganisationer:** Några nationella patientorganisationer har på sin hemsida information om vilka kliniska prövningar som pågår i landet.
- **Clinicaltrials.gov** (<http://www.clinicaltrials.gov/>) är en service som National Institute for Health har utvecklat. Det är en online databas för kliniska prövningar som pågår i USA och i hela världen. Clinicaltrials.gov ger information om syftet med olika kliniska prövningar, vilka som kan delta, platsen där de utförs och telefonnummer man kan ringa för att få mer detaljerad information. Denna information skall användas ihop med råd från sjukvårdspersonalen. Det finns en sökfunktion där man kan skriva in ett eller fler sökord på engelska (som exempel "cystic fibrosis and pediatric")
- **ECFS-CTN Website** (<http://www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials>)
Hemsidan för ECFS-CTN har en sektion som ger en översikt av de studier som pågår vid de centra som är en del av nätverket. Resultat för kliniska prövningar publiceras när de är avslutade och finns tillgängliga.

12. Ordlista

- **(Klinisk) Prövare:** En medicinsk forskare som genomför en klinisk prövning eller någon annan typ av klinisk forskning.
- **Dubbelblind-studier:** En klinisk prövning i vilken varken den deltagande individen eller studiepersonalen vet vilka deltagare som får studieläkemedel och vilka som får placebo (eller annan behandling) . Dubbel- blindstudier är avsedda för få fram objektiva resultat, eftersom de förväntningar som doktorn och deltagaren har på studieläkemedlet inte kan påverka resultaten.
- **Enrollment:** Antal deltagare i en klinisk prövning.
- **Farmakokinetik (PK):** Detta är en analys av hur kroppen resorberar, fördelar, bryter ner och gör sig av med en substans. Oftast mäter man det genom att ta serier av blod-och/eller urinprover och därigenom mäta mängden av substansen och dess metaboliter över tid.
- **Good Clinical Practice (GCP):** En internationell kvalitetsstandard som utformats vid International Conference of Harmonisation (ICH), en internationell organisation som definierar standarden som olika myndigheter ska överföra till ett regelverk för kliniska prövningar på människor.
- **Kontrollgrupp:** I många kliniska prövningar får en grupp patienter en experimentsubstans eller behandling och en kontrollgrupp får antingen vanlig standardbehandling mot sjukdomen eller ett placebo. På så sätt kan man bedöma den nya behandlingens effekt.
- **Öppen prövning:** Klinisk prövning i vilken forskaren och studiedeltagarna vet vilken behandlande substans som används.
- **Placebo:** Ett placebo är en icke aktiv tablett, mixtur eller pulver som inte har någon behandlingseffekt ("sockerpiller"). Det är vanligt i kliniska prövningar att man jämför experimentella behandlingar med placebo för att kunna utvärdera den experimentella behandlingens effekter. I vissa studier får deltagarna i en kontrollgrupp ta placebo istället för ett verksamt läkemedel eller experimentell behandling.
- **Protokoll:** Kliniska prövningar utförs i enlighet med ett planerat protokoll. Protokollet beskriver vilken typ av patienter som kan få ingå i studien, schema över tester och procedurer, studiesubstans, dosering, studiens längd samt vilka resultat som kommer att mätas.
- **Randomiserad studie:** En studie i vilken deltagarna blir slumpvis fördelade till en, två eller flera behandlingsgrupper i en klinisk prövning. Ibland används placebo.

- **Randomiseringsbesök:** Randomisering innebär att det är slumpen som får avgöra vilken slags behandling patienten kommer att få (i de fall då två behandlingar ska jämföras med varandra). Eller är det slumpmässigt beslutat om han/hon kommer att få aktiv substans eller placebo (i en placebokontrollerad studie). Det finns också andra möjligheter. Vid detta besök, eller strax efter, börjar patienten ta studiesubstansen.
- **Screen failure:** En person passar inte för de av protokollet föreskrivna inklusions/exklusionskriterierna efter det att screeningbesök har ägt rum.
- **Screeningbesök:** Det första besöket i en klinisk prövning då det kontrolleras om en deltagare passar för alla de inklusions-/exklusionskriterier som ett specifikt protokoll föreskriver.
- **Sponsor:** Individ, företag, institution eller organisation som är ansvarig för att påbörja, utföra och betala för en studie.
- **Säkerhetskommitteé, Data Safety Monitoring Board (DSMB):** En oberoende kommitté som granskar data under en pågående klinisk prövning för att se till att deltagarna inte utsätts för onödiga risker. En DSMB kan rekommendera att en prövning stoppas ifall det finns oro för säkerheten eller ifall man inte uppnår de syften och mål som var tänkta.
- **Utvärdering av resultat/endpoints:** Innan en klinisk prövning påbörjas måste forskarna bestämma vilka mätmetoder som skall användas för att följa effekten av en studiesubstans (eller annan behandling). I Fas 3-studier för CF är det ofta testresultatet av lungfunktionsundersökning med FEV1 som är det viktigaste målet, (primary endpoint).
- **Valbarhetskriterier/inklusion-exklusion:** Kriterier som avgör om en person får eller inte får gå med i en klinisk prövning. Dessa kriterier baseras på sådana faktorer som ålder, kön, vilket stadium av sjukdomen, tidigare sjukhistoria och andra medicinska omständigheter. Det är viktigt att känna till att inklusions-och exklusionskriterier inte används för att stänga ute vissa personer utan istället för att hitta passande deltagare och bevara säkerheten.

13.Referenser och ytterligare information:

Clinicaltrials.gov “understanding clinical trials”:

<http://clinicaltrials.gov/ct2/info/understand>

National Cancer Institute “introduction to clinical trials”:

<http://www.cancer.gov/clinicaltrials/learning>

CFF-TDN website (Therapeutic Development Network of the Cystic Fibrosis Foundation in US): <http://www.cff.org/research/TDN/>

ECFS-CTN website: <http://www.ecfs.eu/ctn/>

US Food and Drug administration (FDA): <http://www.fda.gov/>

European Medicines Agency (EMA): <http://www.ema.europa.eu/>

ECORN: Expert advice on Cystic Fibrosis: <http://ecorn-cf.eu/>

Patient Partner project and European Network for Patients Partnering in Clinical research (ENPCR): <http://www.patientpartner-europe.eu/>

14. Lista med web-adresser till några nationella CF-organisationer (patientorganisationer) i Europa

Världsomspännande: Cystic Fibrosis Worldwide - <http://www.cfw.org/>

Europa: Cystic Fibrosis Europe - <http://www.cfeurope.org/>

- **Belgien**
Belgische Vereniging Voor Strijd Tegen Mucoviscidose - Site in Flemish: <http://nl.muco.be/>
Association Belge de Lutte contre la Mucoviscidose - Site in French: <http://fr.muco.be/>
- **Bulgarien**
Асоциация Муковисцидоза (Association Mucoviscidosis) - <http://www.lifewithcf.org/>
- **Czech Republic**
Klub nemocných Cystickou Fibrózou - <http://www.cfklub.cz/>
- **Danmark**
Danish Cystic Fibrosis Association - <http://www.cystiskfibrose.dk/default.html>
- **Frankrike**
Association Vaincre la Mucoviscidose - <http://www.vaincrelamuco.org/>
- **Grekland**
Hellenic C.F. Association - <http://www.hcfa.gr/>
- **Irland**
The Cystic Fibrosis Association of Ireland - <http://www.cfireland.ie/>
- **Israel**
Cystic Fibrosis Foundation of Israel - <http://www.cff.org.il/>
- **Italien**
Italian Cystic Fibrosis Research Foundation - <http://www.fibrosicistica.ricerca.it/>
Lega Italiana Fibrosi Cistica - <http://www.fibrosicistica.it/>
- **Nederländerna**
Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting - <http://www.ncfs.nl/>
- **Norge**
Norsk Forening For Cystisk Fibrose - <http://www.cfnorge.no/>
- **Österrike**
Cystischen Fibrose Hilfe Österreich - <http://www.cf-austria.at/cms/>
- **Polen**
Polish Society Against CF - <http://www.ptwm.org.pl/>
- **Portugal**
Associação Portuguesa de Fibrose Quística - <http://www.apfq.pt/>
- **Ryssland**
Russian Cystic Fibrosis Site - <http://www.mucoviscidos.ru/>
- **Schweitz**

Schweizerische Gesellschaft für Cystische Fibrose (CFCH) - <http://www.cfch.ch/>

- **Slovenien**

Cystic Fibrosis Association Slovenia - <http://www.drustvocf.si/>

- **Spanien**

Federación Española contra la Fibrosis Quística - <http://www.fibrosisquistica.org/>

- **Storbrittanien**

Cystic Fibrosis Trust - <http://www.cftrust.org.uk/>

- **Sverige**

Riksförbundet Cystisk Fibros - <http://www.rfcf.se/>

- **Tyskland**

Mukoviszidose e.V. - <http://muko.info/>

CF-Selbsthilfe Koeln e.V - <http://www.cf-selbsthilfe-koeln.de/>

