



DEEP-2 MISIONI HEKURGJURMUES!



Për të lehtësuar organizmin
nga mbingarkesa me hekur të
të rinj me anemi të
varura nga trasfuzionet



DEEP – Deferiprone Evaluation in Paediatrics



Prezantimi



Çdo ilaç sot studihet shumë gjatë përpara se të shpërndahet për publikun e gjerë. Studimet e para verifikojnë që të mos jetë i dëmshëm për shëndetin, ndërsa studimet e mëpasshme kontrollojnë që të ketë efektin e parashikuar dhe të mos japë probleme dytësore. Këto studime bëhen në kushte sigurie të lartë, pasi ilaçet jepen nën kontrollin e një rrjeti mjekësh ekspertë nga shumë Shtete të ndryshme.



Studimi DEEP-2 do të verifikojë efikasitetin dhe sigurinë e **deferiprone**, një ilaç që mundëson të largohen sasi hekur të grumbulluara në organizmin e djemve dhe vajzave që vuajnë nga sëmundje si anemia mesdhetare, anemia falciforme dhe anemi të tjera për të cilat janë të nevojshme transfuzione. Ky studim është pjesë e projektit DEEP (sigla për DEferiprone Evaluation in Paediatrics, në shqip "Vlerësimi i deferiprone në pacientë pediatrike") dhe ka një objektiv shumë të rëndësishëm. Deferiproni është një ilaç i studiuar pak në pediatri, por nëse rezultatet e studimit të DEEP-2 do të jenë pozitive, do të mund të përdoret në mënyrë të sigurtë për të gjithë fëmijët dhe adoleshentët si ti.

Duke lexuar këtë
fletëpalosje
do të mund të
zbulosh:



Si funksionojnë **gjaku dhe rruaat e kuqe**

çfarë janë **anemitë që kanë nevojë për transfuzione**

përse **hekuri grumbullohet** në organizmin e të sëmurëve
me anemitë që kanë nevojë për transfuzione

cilat janë terapitë **për të larguar grumbullimet e hekurit nga organizmi**
për çfarë shërben studimi DEEP-2

cilat janë fazat dhe analizat e studimit DEEP-2

Pasi të kesh lexuar këto informacione, **do të vendosësh vetë ti** nëse dëshiron të marrësh pjesë në këtë studim apo jo. Mjeku yt do të mund të të shpjegojë akoma më mire çfarë do të ndodhë në çdo fazë të studimit dhe, së bashku me prindërit, do të ndihmojë të mendash zgjedhjen tënde.
Fat të bardhë!

Cfarë është gjaku?



Gjaku është nga instrumentët më të jashtëzakonshëm të trupit tonë. Shpesh quhet "lumi i jetës" pasi kryen shumë funksione të domosdoshme për ekzistencën tonë: transporton në çdo pikë të trupit substancat që ushqejnë dhe mbrojnë organizmin, eliminon mbeturinat, na ngroh dhe sjell me vete substancat që rregullojnë rritjen dhe sjelljen tonë.

Gjaku ynë është i përbërë prej miliona qelizash të zhytura në një lëng të quajtur plazmë.

Cilët janë përbërësit e gjakut?

Gjaku përmban shumë substanca si sheqerna, yndyra, vitamina dhe kripëra dhe transporton në trupin tonë miliona qeliza, që janë rruazat e kuqe, rruazat e bardha dhe pllakëzat.



Rruazat e kuqe



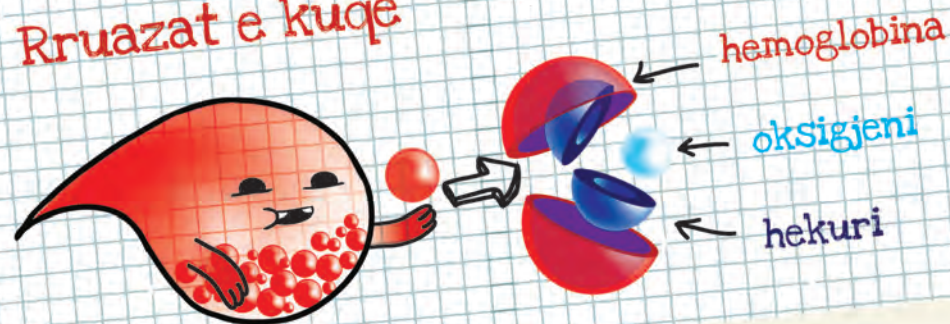
Pllakezat



Rruazat e bardha

Rruazat e kuqe (eritrocitet) përbëjnë deri në 45% të gjakut në kushte normale. Ngjyra e kuqe e ndezur që u jep dhe emrin kryhet prej **hemoglobinës**, që është një proteinë që ka në qendër një atom **hekuri**. Kur gjaku kalon nga mushkëritë gjatë udhëtimit nëpër trup, çdo atom hekuri që përmbajnë rruazat e kuqe kap një molekulë **oksigeni**. Me këtë ngarkesë të çmuar, rruazat e kuqe vazhdojnë udhëtimin e tyre në organizëm, transportojnë oksigjenin për trupin dhe e lëshojnë aty ku nevojitet. Pasi e lëshojnë, oksigjeni bëhet karburanti ynë dhe jep energjinë e nevojshme për lëvizjet, mendimet dhe të gjitha funksionet e organizmit, nga ato më të thjeshtat në ato më të ndërlikuarat.

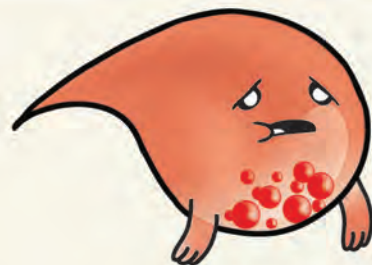
Rruazat e kuqe



Më pak se 1% e gjakut përbëhet nga **rruazat e bardha** (ose leukocitet). Këto qeliza janë me një funksion shumë të ndryshëm, por njësoj të rëndësishëm: mbrojnë trupin tonë nga infeksionet dhe nga sëmundjet që e sulmojnë, duke shkatërruar bakteret dhe viruset që vijnë nga jashtë.

Së fundmi, një pjesë e vogël e gjakut përbëhet nga **pllakëzat**. Këto qeliza kryejnë koagulimin e gjakut, që është një mekanizëm me anë të të cilit organizmi riparohet kur plagoset.

Cfarë janë anemitë?



Anemitë janë një familje e madhe sëmundjesh të gjakut. Mekanizmat dhe arsyt janë të ndryshme, por prodhojnë të gjitha të njëjtin efekt: **pakësimin e numrit të rruazave të kuqe ose pakësimin e hemoglobinës.**

Kur rruazat e kuqe apo hemoglobina nuk funksionojnë si duhet, nuk arrijnë më të lidhin oksigjenin dhe ta transportojnë nëpër organizëm. Pa sasinë e nevojshme të oksigjenit, indet e trupit pësojnë dëme dhe prishje dhe nuk funksionojnë më si duhet.

Qysh prej lindjes, pacientët që vuajnë nga disa sëmundje të trashëguara si **anemia mesdhetare** (beta-talasemia major), **anemia falciforme** dhe forma të tjera anemish, kanë rruaza të kuqe me një formë dhe një aftësi të tillë që kryejnë një punë më të vogël sesa është normale. Këta pacientë rrezikojnë shumë ndaj është e rëndësishme që të ndihmohen qysh në moshë të vogël.

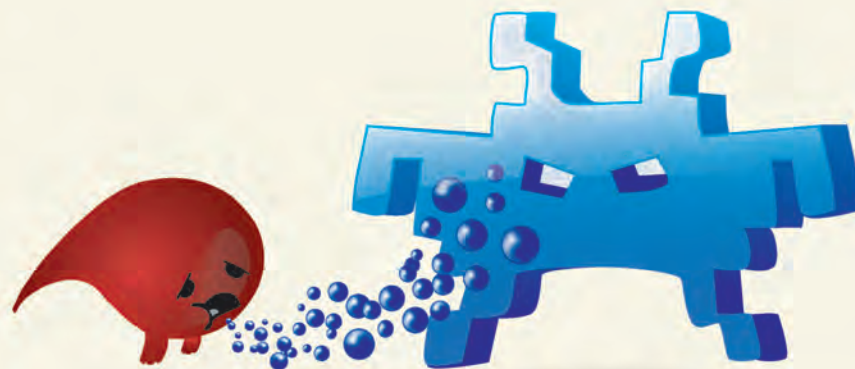
Trajtimi kryesor që përdoret për këto sëmundje është **trasfuzioni i gjakut**, pra futja në trup e një gjaku të pasur me rruaza të kuqe të shëndetshme dhe të afta për të kryer punën përkatëse. Për këtë arsye, anemitë për të cilat është i nevojshëm ky trajtim quhen **anemi të varura nga transfuzionet.**



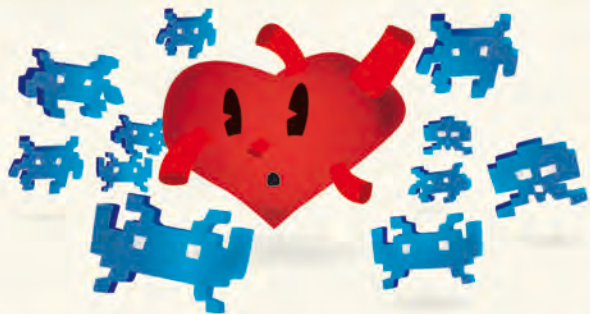
Cilat janë efektet dytësore të transfuzioneve?

Rruazat e kuqe nuk kanë jetë të pafund dhe eliminohen rregullisht për tu lënë vendin rruazave të kuqe të reja. Te pacientët që vuajnë nga anemitë e varura nga transfuzionet, ato kanë një jetë akoma më të shkurtër. Për këtë arsye është e nevojshme të bëhet një transfuzion gjaku çdo 15-20 ditë. Vetëm gjaku që jepet me anë të transfuzionit arrin që të transportojë oksigjenin e nevojshëm dhe i krijon mundësinë pacientit të jetojë si bashkëmoshatarët.

Trasfuzionet ama, kanë një pasgje të rëndësishme. Organizmi nuk arrin të largojë atomet e hekurit që përmban gjaku i ri i marrë. Ky hekur grumbullohet ngadalë në brendësi të një molekule të quajtur **ferritinë.**



Grumbullimi i gjakut mund të shkaktojë shqetësime të ndryshme, por problemet kryesore lindin në **zemër**, që është motori që ve gjakun në qarkullim, dhe në **mëlç**, që është rregullatori i shumë mekanizmave të domosdoshëm për shëndetin e organizmit. Me kalimin e kohës këto shqetësime bëhen të rënda dhe të rrezikshme dhe **duhet të parandaloen me çdo kusht.**



Si eliminohet grumbullimi i hekurit?

Që në moshë të re, ata që vuajnë nga anemitë e varura nga transfuzionet marrin ilaçe që eliminojnë hekurin e tepërt nga organizmi. Këto ilaçe funksionojnë si antenat e një gafarreje: kapin hekurin dhe e marrin me vete, kur derdhen në urinë. Pikërisht për këtë ngjashmëri që kanë me antenat e gafarres këto ilaçe quhen **fero-kelante** (hekur-kapëse).

Terapitë fero-kelante përdorin tre ilaçe të ndryshme që kanë të njëjtin efekt, por që funksionojnë në mënyrë të ndryshme në organizëm.

Cilat janë terapitë fero-kelante?



Deferoxamina

Ilaçi injektohet ngadalë pacientit me anë të një pompe elektronike.



Deferasirox

Ky ilaç merret në trajtë tabletash që shkrijnë në ujë një herë në ditë.



Deferiprone

Ky ilaç merret në trajtë tabletash ose shurupi tre herë në ditë. Ndër ilaçet e këtij grupi, është ai që arrin të largojë më mirë grumbullimet e hekurit nga brendësia e zemrës, por ende nuk është studiuar mirë te fëmijët dhe adoleshentët.

Ndër terapitë fero-kelante cila është më e mira?

Terapia perfekte nuk ekziston. Çdo pacient reagon ndaj ilaçeve në mënyrë të ndryshme dhe për këtë është **e rëndësishme të ketë shumë lloje terapish në dispozicion**. Vetëm në këtë mënyrë çdo pacient mund të ketë terapinë më të përshtatshme.

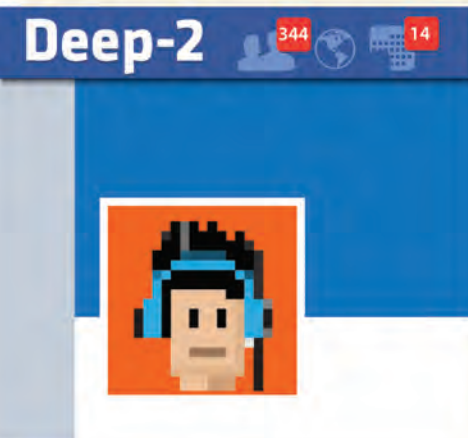
Studimi klinik DEEP-2

Deferiprone është një ilaç që është studiuar kryesisht te pacientët e rritur që vuajnë nga anemia mesdhetare. Ky ilaç ka treguar një efektshmëri të mirë në largimin e grumbullimeve të hekurit nga zemra dhe mjekët do të donin ta përdornin në të gjitha anemitë që varen nga transfuzionet, qysh prej fëmijërisë së hershme.

Megjithatë duhet të kujtojmë që organizmi i një fëmijë apo adoleshenti funksionon në mënyrë të ndryshme nga ai i një të rrituri. Përpara se të japim këtë ilaç me gjerësisht për fëmijët dhe adoleshentët, është shumë e rëndësishme që të studiohen efektet tek ata. Ky lloj studimi merr emrin **studim klinik**.



Studimi klinik DEEP-2 tek i cili të kërkojmë të marrësh pjesë bazohet në një mekanizëm fare të thjeshtë



344 pacientë me prejardhje nga vende të ndryshme do të ndahen në mënyrë rastësore në dy grupe me numër të njëjtë. Procesi në të cilin do të ndahen me short dhe caktohen në një nga dy grupet quhet **randomizim** (nga fjala anglisht random që do të thotë rastësore). Mjekët do të caktojnë dy ilaçe të ndryshme të dy grupeve dhe do të krahasojnë efektet. Në këtë mënyrë do të jetë e mundur të përcaktohet me saktësi nëse shurupi i ri defenprone funksionon mirë ashtu si tabletat e deferasirox.



Sipas kësaj metode studimi, pas randomizimit, pacientët e grupit të parë do të marrin për një vit shurupin e ri defenprone, me shije më të këndshme se ai i mëparshmi, ndërsa pacientët e grupit të dytë do të pinë për një vit tableta që treten në ujë (deferasirox). Mjekët do të ndjekin me vëmendje të gjithë pjesëmarrësit në studim dhe do të kontrollojnë që ilaçet të mos kenë efekte negative. Në fund të studimit, mjekët do të krahasojnë të dy grupet dhe do të mund të verifikojnë nëse ilaçet kanë funksionuar më së miri.

Në studimin klinik DEEP-2 do të marrin pjesë fëmijë dhe adoleshentë në moshë më të vogël se 18 vjeç, me prejardhje nga Italia, Greqia, Qiproja, Egjipti, Tunizia dhe Shqipëria. Në këtë mënyrë, mjekët do të mund të verifikojnë se ilaçi i ri funksionon në mënyrë perfekte për çdo moshë, për çdo vend.



A është i detyrueshëm ky studim?

Pjesëmarrja në studimin DEEP-2 **nuk** është e detyrueshme. Çdo pacient i ri do të mund të vendosë lirisht nëse do të marrë pjesë apo jo në studim. Prindërit e tij do të duhet më pas të aprovojnë vendimin e tij. Çdo pacient që do të vendosë të mos marrë pjesë në këtë studim do të vazhdojë të marrë trajtimin me terapinë e vetë dhe do të ketë gjithsesi vëmendjen maksimale prej mjekëve.

A është e mundur të dal nga studimi pasi e kam filluar atë?

Çdo pacient që dëshiron të lejë studimin do të mund ta bëjë lirisht, pa qenë i detyruar të japë asnjë shpjegim. Do të trajtohet me terapinë fero-kelante më të përshtatshme për të dhe do të vazhdojë të ketë vëmendjen maksimale nga ana e mjekëve.



A është e sigurtë terapia me deferiprone?

Si çdo terapi, edhe deferiprone ka efekte të padëshirueshme që zakonisht janë të lehta dhe të njohura nga mjekët eksperimentues. Për të qenë në siguri maksimale, mjekët do të mbajnë vazhdimisht në kontroll pjesëmarrësit në këtë studim dhe nëse do të jetë e nevojshme do ta ndërpresin terapinë.

Gjithashtu, efektet e këtij ilaci te fetuset nuk janë ende studiuar. Për këtë shtatëzanitë duhen evituar. Nëse ndodhin, duhet njoftuar menjëherë mjeku.



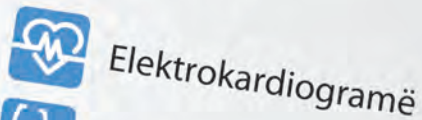
Rruga që do ndjekim,
hap pas hapi



Shurup



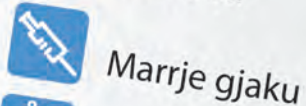
Tableta



Elektrokardiogramë



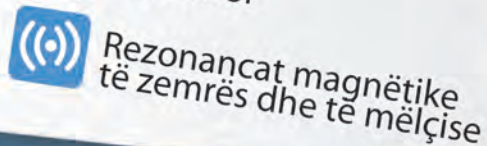
Kontroll



Marrje gjaku



Pyetësor



Rezonancat magnëtike
të zemrës dhe të mëlçisë



Çfarë do të ndodhë gjatë studimit DEEP-2?

Studimi DEEP-2 ka një kohëzgjatje totale prej 14 muajsh, por trajtimi do të zgjasë 12 muaj.

Një muaj përpara fillimit të trajtimit, mjekët do të përzgjedhin pjesëmarrësit.

6 ditë përpara se të fillojë trajtimi, do tu kërkohet pjesëmarrësve të ndërpresin terapinë fero-kelante që ndiqnin më parë. Në këtë mënyrë do të jetë e mundur të pastrohet organizmi nga gjurmët e ilaçit të mëparshëm, kështu nuk do të ndikojë në veprimin e ilaçit që po studihet.

Gjatë **ditës së parë të trajtimit**, 344 pacientët do të caktohen ose në grupin e deferiprone (shurup) ose në grupin e deferasirox (tableta që shkrihen në ujë). Duke filluar nga ky moment, pacientët që do të caktohen në grupin e deferiprone do të marrin shurupin 3 herë në ditë pas vakteve, ndërsa pacientët e caktuar në grupin e deferasirox do të marrin tabletat një herë në ditë me stomakun bosh (pa ngrënë). Gjithashtu, pacientët do të plotësojnë disa pyetësorë, do tu merret një kampion gjaku dhe do ti nënshtrohen një elektrokardiogrami (EKG).

Në fund të trajtimit të dymbëdhjetë, pacientët do të ndërpresin terapinë dhe do të kryejnë analizat e fundit (marrje gjaku, vizitë mjekësore të thelluar, elektrokardiogramë dhe rezonancë magnetike të mëlçisë dhe të zemrës).

Një muaj pas përfundimit të trajtimit, pacientët do të nënshtrohen një vizite të fundit të thelluar.



Çfarë do të ndodhë gjatë vizitave të studimit?



Gjatë vizitave të kontrollit, mjeku do të verifikojë mirëqenien e përgjithshme të pjesëmarrësve.

Marrjet e gjakut do të shërbejnë për të verifikuar se pjesëmarrësit janë në gjendje të mirë shëndetësore dhe se veshkat dhe mëlçia janë në kushte të mira. Kontrolli i vazhdueshëm i vlerave të gjakut e bën këtë studim maksimalisht të sigurtë. Marrjet e gjakut do të lejohen gjithashtu të kontrollohen:



sasia e **ferritinës**, që i përket sasisë së hekurit që gjendet në organizëm; gjatë studimit kjo substancë duhet të pakësohet (nëse është shumë e lartë) ose duhet të qëndrojë e pandryshueshme (nëse është në nivele të pranueshme).



sasia e **muazave të bardha**, qeliza shumë të rëndësishme për mbrojtjen e organizmit dhe nuk duhet të pakësohen gjatë kohës së studimit.





Elektrokardiogram (EKG) është një analizë e thjeshtë dhe që zgjat shumë pak që shërben për të regjistruar aktivitetin elektrik të zemrës dhe të tregojë nëse funksionon korrektësisht.

Rezonancat magnetike të zemrës dhe të mëlçisë (RM zemre dhe RM mëlçi) janë dy analiza shumë të rëndësishme. Na lejojnë të rikrijmë një pamje në kompjuter të zemrës dhe mëlçisë me të cilën mjeku mund të kontrollojë nëse ilaçi po bën efektin e vetë apo nëse ka grumbullime hekuri. Në fillim të analizës, pacienti do të shtrihet në një krevat dhe do të futet në brendësi të një aparati në formë tubi. Aparati do të eksplorojë organet e pacientit me anë të një fushe magnetike dhe valëve radio që do të dërgojnë të dhënat në një kompjuter qëndror. Ashtu si të gjitha analizat e DEEP-2, kjo kërkon vetëm pak durim: pacienti duhet të qëndrojë në brendësi të aparatit për rreth 20 min duke ndjekur udhëzimet e mjekut.



Efekte të padëshirueshme

Të gjitha ilaçet që marrim për efektet e tyre të mira mund të veprojnë ndonjëherë në pjesë të tjera të trupit tonë dhe të prodhojnë efekte të padëshirueshme. Edhe dy ilaçet e përdorura në studimin DEEP-2 mund të prodhojnë disa efekte të tilla, por në përgjithësi nuk janë të rrezikshme.

Gjatë përdorimit, mund të verifikohet të pacienti pakësimi i **muazave të bardha**, pakësimi i **plakëzave** dhe shqetësime në **mëlçi** ose **veshka**. Mjeket do të kryejnë një marrje gjaku çdo javë për të kontrolluar që këto efekte të mos paraqiten.

Efekte të tjera dytësore më pak të rëndësishme janë:

- shqetësime gastrointestinale (përzierje, të vjella, diare)
- dhimbje të krahëve apo këmbëve
- kruajtje
- irritim i lëkurës
- ngjyrim i urinës

Mba mend: këto efekte nuk janë në përgjithësi të rrezikshme, por është e rëndësishme të **njoftohet mjeku** nëse ndjen ndonjë shqetësim çfarëdo. Mjeku do të vendosë nëse është e mundur të vazhdohet trajtimi ose nëse duhet ndërprerë.



Pyetje të Shpeshta

Çfarë janë terapitë fero-kelante (hekur-kapëse)?

Janë terapi me ilaçe që pakësojnë grumbullimet e hekurit në pacientët që kryejnë transfuzione të shpeshta, si të sëmurët me anemi. Grumbullimet e hekurit janë shumë të rrezikshme për shëndetin dhe është e nevojshme të shmangen.

Cilat janë terapitë fero-kelante të disponueshme?

Terapitë e disponueshme përdorin deferoxamina (injektohet në pacientët me anë të një pompe elektronike), deferasirox (tableta që shkrnhen në ujë) dhe defenprone (tableta dhe shurup).

Cila është terapia fero-kelante e përsosur?

Një terapi e përsosur nuk ekziston, pasi gjithsecili prej nesh i përgjigjet në mënyrë të ndryshme ilaçeve. Për këtë është e rëndësishme të kemi më shumë se një terapi në dispozicion.

Për çfarë shërben studimi DEEP-2?

Defenprone është shumë efikas për të hequr grumbullimet e hekurit nga zemra dhe është një terapi e mirë fero-kelante. Studimi DEEP-2 do të shqyrtojë efektet e defenprone edhe në pacientët talasemike më të vegjël dhe në të gjithë ata të rinj që kanë anemi të varura nga transfuzionet tek të cilët efektet e defenprone janë ende pak të njohura.

A është i sigurtë studimi DEEP-2?

Gjatë studimit DEEP-2, çdo pjesëmarrës do të ndiqet me vëmendje nga mjeku i tij dhe kushtet e shëndetit të tij do të jenë gjithnjë nën kontroll.



Duhet të marr pjesë me patjetër në studimin DEEP-2?

Pjesëmarrja në studimin DEEP-2 nuk është e detyrueshme dhe ti nuk duhet të ndihesh në asnjë mënyrë i detyruar të marrësh pjesë. Të gjithë do të respektojnë vendimin tënd dhe mjeku yt do të vazhdojë të të kurojë si më parë.

Mund të largohem nga studimi DEEP-2?

Nëse nuk do të vazhdash të marrësh pjesë në studim, mjafton të informosh mjekun tënd. Do të vazhdash terapinë tënde të mëparshme dhe mjeku yt do të kurojë si më parë.

Çfarë ndodh nëse harroj të marr një dozë shurupi apo një tabletë?

Është e rëndësishme që dozat të merren në kohën e caktuar. Gjithsesi, nëse do të ndodh të harrash ndonjë, mos u shqetëso. Kujtohu që duhet të informosh menjëherë mjekun tënd dhe të vazhdash të marrësh shurupin apo tabletat si zakonisht.

Çfarë ndodh nëse vuaj nga ndonjë efekt i padëshirueshëm?

Njofto menjëherë mjekun tënd. Efektet e padëshirueshme nuk janë në përgjithësi të rrezikshme por mjeku yt do të vendasë nëse mund të vazhdash të marrësh pjesë në studim apo do të kthehesh të terapia e vjetër.

Përse studimi DEEP-2 është i rëndësishëm?

Defenprone mund të jetë një ilaç shumë efikas dhe i dobishëm për të gjithë të rinjtë që vuajnë nga anemi të e varura nga trasfuzionet. Duke marrë pjesë në studimin DEEP-2, do të ndihmash mjekët të vendasin nëse ky ilaç mund të përdoret për ta. Në këtë mënyrë do të ndihmash shumë fëmijë si ti.



Mbrojtja e privatësisë dhe të dhënave personale

Të dhënat personale të pjesëmarrësve në këtë studim do të jenë të mbrojtura nga sekret maksimal dhe nuk do ti thuhet askujt, përveç familjarëve dhe mjekëve.

Sipas ligjit (Direktiva Europiane 1995/46/KE për konfidencën e të dhënave), të gjithë ata që përfshihen në këtë studim kanë detyrimin të japin garanci maksimale që informacionet e tua dhe për sëmundjen tënde të ngelen konfidenciale dhe asnjë të mos mund të të gjejë me anë të informacionëve që të përkasin ty, përveç mjekut dhe personave që ai ka ngarkuar të kujdesen për ty.

Të gjithë personat e përfshirë në këtë studim janë të lidhur prej sekretit profesional.

Informacionet do të mund të përdoren në mënyrë anonime për të njoftuar Komitetet Etike dhe autoritetet shëndetësore kombëtare dhe europiane.

Ke të drejtë të njohësh rezultatet e studimit, si ato që lidhen me ty dhe ato të përgjithshme.

Pasi studimi të ketë përfunduar, rezultatet do të bëhen publike, do të publikohen në një revistë mjekësore ose prezantohen në një kongres shkencar. Në çdo rast, çdo informacion do të përhapet në mënyrë anonime dhe pjesëmarrësit në këtë studim nuk do të jenë të identifikueshëm.

DEEP

DEferiprone Evaluation in Paediatrics

Projekt i financuar nga Komisioni Europian me Programin e Shtatë në Kuadër të Kërkimeve dhe Zhvillimit Teknologjik
(FP7 Project - SP1 - Cooperation HEALTH-F4-2010-261483)

Studim klinik me qendra të shumfishta, i randomizuar, i hapur, i kontrolluar, pa inferioritet për të vlerësuar efikasitetin dhe sigurinë e deferipronit në krahasim me deferaksroxin për pacientët pediatrike me një mashe nga 1 muaj deri në më pak se 18 vjeç, të cilët vuajnë nga hemoglobinopatitë që kanë nevojë për transfuzione gjaku.

Kodi i studimit: DEEP-2
Numri EudraCT: 2012-000353-31

Consorzio per Valutazioni
Biologiche e Farmacologiche

Koordinatori shkencor
Adriana Ceci

Menaxheri i projektit
Donato Bonifazi

Skuadra shkencore
Aurelio Maggio
Paola Baiardi
Mohamed Bejjani
Amal El-Beshlawy
Soteroula Christou
Giancarlo Del Vecchio
Slaheddine Fattaoum
Aldo Filosa
Antonis Kattamis
Manika Kreka
Laura Mangiarini
Caterina Putti

Koordinatori i pradhimit të fletëpalosjeve
Maria Cavallo

Editor i përmbajtjes
Leonardo Rizzi

Ilustrimet dhe grafika
Claudio Cozzolino

Koordinatori i përkthimeve
Anthony Green

