

Lavdose melfalan (Alkeran) kan gi remisjon hos pasienter med høy-risiko myelodysplastisk syndrom og akutt myelogen leukemi med lav celleholdighet i benmargen, 22.02.2021. Versjon 5.

## FORESPØRSEL OM DELTAKELSE I FORSKNINGSPROSJEKTET

### **Lavdose melfalan (Alkeran) kan gi remisjon hos pasienter med høy-risiko myelodysplastisk syndrom og akutt myelogen leukemi med lav eller normal celleholdighet i benmargen**

Dette er et spørsmål til deg om du ønsker å delta i et forskningsprosjekt som har til hensikt å undersøke hvorfor pasienter med høy-risiko myelodysplastisk syndrom (MDS) eller akutt myelogen leukemi (AML) med lav/normal celleholdighet i benmargen kan ha god effekt av en lav dose av cellegiften Alkeran (melfalan) i tablettform. Siden du har en av de to nevnte sykdommene, og har brukt Alkeran, får du tilbud om å delta i denne studien.

#### HVA INNEBÆRER PROSJEKTET?

Dette prosjektet er et retrospektivt prosjekt. Det betyr at vi ønsker å samle inn data fra pasienter som allerede har fått behandling. De pasientene vi ønsker å samle inn opplysninger om, er pasienter med høy-risiko MDS eller AML som hadde lav eller normal celleholdighet i benmargen og som allerede har fått behandling med lavdose Alkeran. Pga. den relativt lave celleholdigheten i benmargen kan det være uheldig å gi høye eller middels store doser cellegift, dvs. den vanlige behandlingen ved høy-risiko MDS og AML. Dette skyldes at slike doser cellegift ville kunne resultere i at røde blodlegemer (ansvarlige for surstofftransport), hvite blodlegemer (viktige i forsvaret mot infeksjoner) og blodplatene (de cellene som skal stoppe blødning) ville kunne blitt veldig lave over svært lang tid. Du ville således ved slik behandling kunne bli svært utsatt for alvorlige infeksjoner og blødninger. På grunn av dette har du istedenfor fått cellegiften Alkeran i lav dose i et begrenset antall uker, ofte 8 uker. Det har ofte svært god effekt og gjør at mange pasienter trass i alvorlig sykdom, oppnår at benmargen blir uten eller med et meget lavt antall syke celler. Blodverdiene kan bli helt normale. Dette kan vare i opptil ett år. Ved tilbakefall vil Alkeran på nytt kunne gjøre at blodverdiene kan bli normale og at benmargen blir uten unormale celler.

Foreløpig er det ingen som vet hvorfor disse små dosene med Alkeran hjelper ved høy-risiko MDS og AML med lav eller normal celleholdighet i benmargen. Vi ønsker å finne ut mer om hvilke pasienter som har effekt av denne behandlingen og hva som er Alkerans virkningsmekanisme. Vi ønsker derfor å samle inn opplysninger om deg og tilsvarende pasienter som har fått lav dose Alkeran for nettopp slik sykdom som du har. I tillegg ønsker vi å undersøke benmargen din for å se om dine syke celler har forandringer i arvematerialet som kan være med på å forklare hvorfor du har hatt effekt av Alkeran.

For deg vil prosjektet innebære at vi samler informasjon om sykdommen din, om hvordan du hadde det da du startet med Alkeran og om resultatet av behandlingen. Vi ønsker også å registrere tidligere behandling, tidligere sykdommer og medisinbruk. Kliniske data og resultater av blodprøver vil hentes fra journalen din.

Det er tatt benmargsprøver før og etter behandlingen med Alkeran. Disse vil bli undersøkt for å finne ut om det er endringer i arvematerialet som kan forklare om du har hatt effekt av de små dosene med Alkeran.

Studien vil for deg innebære at vi vil samle inn opplysninger om deg og din sykdom. Nye undersøkelser vil ikke bli gjort. Vi vil undersøke den benmargen som allerede er tatt. Således skal det heller ikke tas ny benmargsprøve av deg som ledd i studien.

Lavdose melfalan (Alkeran) kan gi remisjon hos pasienter med høy-risiko myelodysplastisk syndrom og akutt myelogen leukemi med lav celleholdighet i benmargen, 22.02.2021. Versjon 5.

## MULIGE FORDELER OG ULEMPER

For deg vil disse undersøkelsene ikke kunne forventes å gi deg klinisk nytte.

Studien kan på den annen side være med på å kunne bedre forståelse og behandling av tilsvarende pasienter som deg i fremtiden.

## FRIVILLIG DELTAKELSE OG MULIGHET FOR Å TREKKE SITT SAMTYKKE

Det er frivillig å delta i prosjektet. Dersom du ønsker å delta, undertegner du samtykkeerklæringen på siste side. Du kan når som helst og uten å oppgi noen grunn trekke ditt samtykke. Dette vil ikke få konsekvenser for din videre behandling. Dersom du trekker deg fra prosjektet, kan du kreve å få slettet innsamlede prøver og opplysninger, med mindre opplysningene allerede er inngått i analyser eller brukt i vitenskapelige publikasjoner. Dersom du senere ønsker å trekke deg eller har spørsmål til prosjektet, kan du kontakte Emil Nyquist, tel. 33 34 20 00, [emil.nyquist@siv.no](mailto:emil.nyquist@siv.no), Synne Torkildsen, tel. 99 23 11 35, [zasyto@ous-hf.no](mailto:zasyto@ous-hf.no) eller Ingunn Dybedal, tel. 91536925, [ldybedal@ous-hf.no](mailto:ldybedal@ous-hf.no).

## HVA SKJER MED INFORMASJONEN OM DEG?

Informasjonen som registreres om deg skal kun brukes slik som beskrevet i hensikten med studien. Du har rett til innsyn i hvilke opplysninger som er registrert om deg og rett til å få korrigert eventuelle feil i de opplysningene som er registrert.

Alle opplysningene vil bli behandlet uten ditt navn, ditt fødselsnummer eller andre direkte gjenkjenner opplysninger. En kode knytter deg til dine opplysninger gjennom en navneliste som kun de som er ansvarlige for studien kjenner. Således er du aidentifisert.

Vi har planlagt å publisere resultatene av denne studien i et internasjonalt tidsskrift slik at også andre kan lære mer om disse sykdommene.

Prosjektleder har ansvar for den daglige driften av forskningsprosjektet og at opplysninger om deg blir behandlet på en sikker måte. Informasjon om deg vil bli slettet senest fem år etter prosjektslutt, 01.06.2022.

## HVA SKJER MED PRØVER SOM BLIR TATT AV DEG?

Det foreligger en diagnostisk biobank, det vil si et lagringssted for biologisk materiale fra pasienter som har vært under utredning for en blodsykdom. Dine prøver fra blod og benmarg er oppbevart der. Biobanken eies av Oslo Universitetssykehus, og ansvarlig for biobanken er avdelingsleder for patologisk avdeling - Kristina Myrvold.

Med mindre resultatene allerede er publisert, har du når som helst rett til å kreve at biologisk materiale fra deg blir tilintetgjort.

## GENETISKE UNDERSØKELSER

Benmargen din vil bli undersøkt med tanke på om de syke cellene er fått endring i sitt arvemateriale.

Genetisk undersøkelse med tanke på om du har en arvelig sykdom, vil ikke gjøres. Det er kun dine syke cellers arvemateriale som vil bli undersøkt.

Lavdose melfalan (Alkeran) kan gi remisjon hos pasienter med høy-risiko myelodysplastisk syndrom og akutt myelogen leukemi med lav celleholdighet i benmargen, 22.02.2021. Versjon 5.

#### HVA SLAGS INFORMASJON KAN DE GENETISKE UNDERSØKELSENE I PROSJEKTET GI?

Forskning har vist at kreftceller, i ditt tilfelle leukemiceller eller de syke cellene ved MDS, har forandringer i arvematerialet. Disse forandringene kan av og til fortelle oss noe om hvordan kreftcellene/ leukemicellene har oppstått og utviklet seg. Ved å analysere leukemi-/ MDS-cellenes arvemateriale (genene) i mer detalj, kan vi kanskje bidra til at behandling av lignende sykdommer i fremtiden kan bli bedre. I dine kreftceller/ leukemiceller ønsker vi å lete etter spesielle forandringer i arvematerialet for å undersøke om de er endret (mutert.). Vi vil blant annet lete etter om det kan være spesielle mutasjoner til stede hos de pasientene som har effekt av Alkeran.

#### FORSIKRING

Prosjektleder overlege Ingunn Dybedal har tegnet forsikring i Legemiddelansvarsforeningen for 2021. Dette betyr at du er forsikret og vil kunne få erstatning hvis skade eller noe uforutsett relatert til studien skulle inntreffe.

#### ØKONOMI

Studien er finansiert via forskningspenger fra Oslo Universitetssykehus HF. Du vil ikke motta økonomisk støtte for deltagelse i studien. Prosjektleder vil heller ikke motta økonomisk bidrag.

#### GODKJENNING

Prosjektet er godkjent av Regional komite for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk for utvidet inklusjon..... med saksnummer 2017/117.

#### SAMTYKKE TIL DELTAKELSE I PROSJEKTET

#### JEG ER VILLIG TIL Å DELTA I PROSJEKTET

Sted og dato

Deltakers signatur

\_\_\_\_\_

Deltakers navn med trykte bokstaver

Jeg bekrefter å ha gitt informasjon om prosjektet

Sted og dato

Signatur og navn med trykte bokstaver

\_\_\_\_\_

Rolle i prosjektet

Faglig ansvarlig for studien: overlege Ingunn Dybedal, overlege ved avdeling for blodsykdommer, Oslo Universitetssykehus, Rikshospitalet kan kontaktes hvis du er usikker på noe: Tlf.: 91 53 69 25