

التجارب السريرية للهموفيليا



نُشرت من قبل الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH). حقوق الطبع محفوظة للاتحاد العالمي للهيموفيليا. 2021

يُشجع الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) على ترجمة وإعادة توزيع منشوراته للأغراض التثقيفية من قبل منظمات اضطرابات النزف/الهيموفيليا غير الهادفة للربح.

وللحصول على إذن لإعادة طبع، أو إعادة توزيع، أو ترجمة هذه المطبوعة، يُرجى الاتصال بقسم التثقيف على العنوان التالي.

تتوفر هذه المطبوعة بصيغة ملف (PDF) على الموقع الإلكتروني للاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) www.wfh.org. ويمكن طلب نسخ مطبوعة إضافية من خلال الموقع الإلكتروني للاتحاد أو عن طريق مراسلة العنوان أدناه.

World Federation of Hemophilia

1425 René-Lévesque Boulevard West, Suite 1200
Montréal, Québec H3G 1T7, CANADA

هاتف: (514) 875-7944

فاكس: (514) 875-8916

البريد الإلكتروني: wfh@wfh.org

www.wfh.org

لا يخطر الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) في الممارسة الطبية، ولا يوصي تحت أية ظروف بمعالجة معينة لأي أشخاص معينين. لا يقدم الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) أي تمثيل، ضمني أو صريح، بأن جرعات الأدوية أو بنية توصيات المعالجة الواردة في هذه المطبوعة صحيحة. ولهذه الأسباب، نوصي بشدة أن يقوم الأفراد بطلب النصيحة من استشاري طبي و/أو الرجوع إلى التعليمات المطبوعة المقدمة من قبل شركة الأدوية قبل تعاطي أي من الأدوية المشار إليها في هذه المطبوعة. لا يُزكي الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) منتجات علاج معينة أو مصنعين معينين: ولا تُعتبر أية إشارة لأي اسم منتج على أنها تركية من الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH).

ما هي التجربة السريرية؟

تشتمل الدراسات السريرية عادةً على متطوعين بشريين أو مشاركين أو عينات (دم أو أنسجة أخرى) من البشر بقصد تطوير المعرفة الطبية. هناك نوعان رئيسيان من الدراسات السريرية: التجارب السريرية (وتسمى أيضًا الدراسات التدخلية) والدراسات القائمة على الملاحظة.

التجربة السريرية هي نوع من الدراسات البحثية التي يختبر فيها الباحثون طرقًا جديدة للوقاية من الأمراض أو اكتشافها أو علاجها. يتلقى المشاركون في إحدى التجارب السريرية تدخلات محددة وفقًا لبروتوكول مفصل لتلك التجربة السريرية. قد تكون هذه التدخلات منتجات طبية، مثل الأدوية أو الأجهزة أو الإجراءات الجراحية أو تغييرات في السلوك، مثل النظام الغذائي للمشاركة.

قد تقارن التجارب السريرية طريقة علاج جديدة بالطريقة القياسية المتوفرة بالفعل، أو بالبدائل العلاجية، أو قد تكون بدون تدخلات. التجارب السريرية هي الطريقة الرئيسية التي يستخدمها الباحثون لمعرفة ما إذا كان العلاج الجديد آمنًا وفعالًا. لكي يصبح الدواء دواءً يمكن للأطباء وصفه، يجب أولاً اختباره في سلسلة من التجارب السريرية، تُعرف باسم المرحلة 1 والمرحلة 2 والمرحلة 3. بعد المرحلة 3 من التجارب السريرية، يتم إرسال البيانات من التجارب السريرية إلى وكالة تنظيمية تحدد بعد ذلك ما إذا كان ينبغي الموافقة على هذا الدواء للاستخدام.



الفهرس

- 1..... ما هي التجربة السريرية؟
- 2..... ما هي الدراسة القائمة على الملاحظة؟
- 3..... ما هي الحاجة الى التجارب السريرية؟
- 4..... كيف يتم إجراء التجارب السريرية؟
- 5..... كيف يتم اختبار العلاجات الجديدة في التجارب السريرية
- 6..... المشاركة في التجارب السريرية
- 7..... مراقبة سلامة المريض في التجارب السريرية
- 8.....
- 9.....
- 10.....
- 11..... تجربة سريرية
- 12.....
- 13..... أدوار المريض ومقدم الرعاية الصحية في التجارب السريرية
- 14..... الملحق
- 15..... مثال على معايير الأهلية في تجربة سريرية للعلاج الجيني (افتراضي)
- 16..... قائمة المصطلحات

هناك أنواع مختلفة من التجارب السريرية:

طريق الاختيار. لا يختار الباحث ولا المشارك العلاج الذي سيتلقاه مشارك معين.

• **تجربة سريرية خاضعة للتحكم الوهمي:** تجربة سريرية يتم فيها مقارنة مجموعة تتلقى العلاج موضع الاختبار بمجموعة تحكم تتلقى علاجًا وهميًا (علاج يشبه العلاج التجريبي ولكن لا يحتوي على أي مكونات نشطة).

• **تجربة سريرية مفتوحة التسمية:** نوع من التجارب السريرية يعرف فيه كل من المشاركين والباحثين العلاج الذي يُعطى للمشاركين.

• **التجربة السريرية أحادية التعمية:** تجربة سريرية يكون فيها فريق أبحاث التجارب السريرية على دراية بالعلاج الذي يتناوله المشاركون ولكن المشاركون في الدراسة لا يعرفون الدواء أو العلاج الذي يتلقونه.

• **تجربة سريرية مزدوجة التعمية:** نوع من التجارب السريرية لا يعرف فيها المشاركون في الدراسة ولا الباحثون العلاج الذي يتلقاه المشاركون حتى اكتمال الدراسة. ويكون الصيدلي على معرفة بالعلاج الذي يعطى للمشاركين. تم تصميم هذا التعمية لمنع أعضاء فريق البحث والمشاركين في الدراسة من التأثير على النتائج.

• **نقاط نهاية الدراسة:** في بروتوكول التجارب السريرية، تكون نقطة النهاية الأولية هي مقياس النتيجة المخطط له وهو الأكثر أهمية لتقييم تأثير التدخل أو العلاج.

• **التجارب الوقائية:** تجارب مصممة لإيجاد طرق أفضل للوقاية من المرض لدى الأشخاص الذين لم يصابوا بالمرض مطلقًا أو لمنع المرض من العودة لدى الأشخاص المصابين به. قد تشمل التدخلات في التجارب الوقائية الأدوية أو الفيتامينات أو اللقاحات أو تغيير نمط المعيشة.

• **تجارب الفحص:** اختبار طرق جديدة للكشف عن الأمراض أو الظروف الصحية لدى الأشخاص.

• **التجارب التشخيصية:** البحث عن مقارنة الاختبارات أو الإجراءات لتشخيص مرض أو حالة معينة.

• **تجارب العلاج:** اختبار علاجات جديدة مثل الأدوية والأجهزة الجديدة، والطرق الجديدة لإجراء الجراحة أو العلاج الإشعاعي.

• **تجارب جودة المعيشة:** اكتشاف طرق لتقييم أو تحسين نوعية حياة الأشخاص المصابين بمرض أو حالة.

غالبًا ما تستخدم المصطلحات التالية في وصف التجارب السريرية:

• **التوزيع العشوائي:** العملية التي يتم من خلالها تخصيص العلاجات للمشاركين في تجربة سريرية عن طريق الصدفة وليس عن.

ما هي الدراسة القائمة على الملاحظة؟

هي نوع من الدراسة البحثية حيث يلاحظ الباحثون الآثار العلاجية في مجموعة من المشاركين، دون تدخل من قبل الباحثين. لا يتم تعريض المشاركين لتدخلات محددة من قبل الباحث، كما هو الحال في التجربة الإكلينيكية، ولكن قد يتلقون علاجًا يعد بالفعل جزءًا من رعايتهم الطبية الروتينية. يمكن للباحثين بعد ذلك تقييم الارتباطات بين التدخلات والنتائج الصحية، على الأشخاص الذين يتلقون العلاج كجزء من الرعاية القياسية. قد تؤدي هذه النتائج إلى مزيد من الاختبارات في تجربة سريرية. هناك عدة أنواع مختلفة من الدراسات القائمة على الملاحظة. سجل المرضى هو نوع من الدراسة القائمة على الملاحظة.

سجل المرضى هو نظام منظم يستخدم طرق الدراسة القائمة على الملاحظة لجمع البيانات حول العلاجات والنتائج السريرية ورفاهية الأشخاص المصابين بمرض أو حالة أو أعراض معينة.

بالنسبة لمجتمع الهيموفيليا، هناك سجلين هاميين للمرضى هما:

سجل اضطرابات النزف العالمي



السجل العالمي لاضطرابات النزف (WBDR) هو نظام لإدخال البيانات على شبكة الإنترنت يوفر منصة لشبكة من مراكز علاج الهيموفيليا حول العالم لجمع بيانات موحدة للمرضى، وتوجيه الممارسة السريرية. بموافقة المريض، يخزن السجل العالمي لاضطرابات النزف البيانات عن مرض الشخص، مثل نوع الهيموفيليا وشدها والأعراض والعلاج والنتائج الصحية.

يمكن لمتخصصي الرعاية الصحية المشاركين في السجل العالمي لاضطرابات النزف استخدام السجل العالمي لاضطرابات النزف لتتبع ومراقبة تقدم المرضى وتوجيه الرعاية السريرية الخاصة بهم. يمكن أيضًا استخدام هذه البيانات السرية وغير المحددة الهوية لمساعدة الباحثين على الإجابة عن الأسئلة المهمة حول التفاوتات في الرعاية على مستوى العالم والمساعدة في تعزيز مبادرات المناصرة / السياسة الصحية.

سجل الإتحاد العالمي للهيموفيليا للعلاج الجيني



من خلال جهد تعاوني دولي، طور الإتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) سجلًا عالميًا لمرضى العلاج الجيني، وهو سجل العلاج الجيني (GTR) في الإتحاد العالمي للهيموفيليا. الهدف من سجل العلاج الجيني هو توفير قاعدة بيانات قوية وصالحة علميًا، ومتاحة لجميع مقدمي الرعاية الصحية الذين يعالجون الأشخاص المصابين بالهيموفيليا الذين يتلقون العلاج الجيني في أي مكان في العالم. سيتم استخدام البيانات التي تم جمعها من خلال سجل العلاج الجيني لتقييم سلامة وفعالية العلاج الجيني على المدى الطويل للأشخاص المصابين بالهيموفيليا.

يمكن أن يكون الجدول التالي مفيدًا لمعرفة مدى اختلاف البحث السريري عن العلاج الطبي.



العلاج الطبي



الأبحاث السريرية

مقابل

تلبية احتياجات الافراد المرضى	الهدف	الاجابة على أسئلة محددة من خلال البحث الذي يشارك فيه عدد من المتطوعين و الباحثين
تهدف إلى إفادة المريض بشكل فردي	الفائدة المقصودة	مصممة بشكل عام وتهدف إلى إفادة المرضى في المستقبل
يتم تمويلها من قبل الأفراد المرضى وتأميناتهم الصحية	التمويل	تمول من قبل مطوري الأدوية والهيئات الحكومية
يتطلب قرارات وقتية	الإطار الزمني	تعتمد على بروتوكول البحث
قد تتطلب أو لا تتطلب الموافقة المستنيرة	الموافقة	تتطلب موافقة خطية مستنيرة
حسب احتياجات المريض المقيمة	التقييم	تتضمن التقييم الدوري والمنتظم لبيانات المريض
تسترشد بمجالس الممارسة الطبية والمعايير المهنية ، والمراجعات المحكمة والموافقة المستنيرة والمعايير القانونية.	الحماية	محمية من قبل الوكالات الحكومية ومجالس المراجعة المؤسسية والمعايير المهنية والموافقات المستنيرة والمعايير القانونية
تستخدم المنتجات والإجراءات المعترف من قبل المجتمع الطبي على أنها آمنة وفعالة	اليقين	اختبار المنتجات والإجراءات ذات الفائدة غير المثبتة للمريض
متاح لعامة الناس من خلال وضع العلامات على المنتج	الوصول إلى المعلومات	تتدرج تحت اسرار الملكية الفكرية
لا يتم الكشف عن السجلات الطبية الفردية لعامة الناس	الإفراج عن النتائج	تنشر النتائج في مجلات طبية محكمة بعد انتهاء البحث السريري

ما هي الحاجة الى التجارب السريرية؟

المرحلة الثانية

الغرض من المرحلة الثانية من التجارب السريرية هو الاستمرار في اختبار السلامة والآثار الجانبية المرتبطة بالعلاج، وأيضًا اختبار الفعالية وتحديد الجرعات الأكثر فعالية. تُجرى تجارب المرحلة الثانية عادةً على عدد أكبر من المشاركين مقارنةً بتجارب المرحلة الأولى، وتشمل الأشخاص المصابين بالمرض. في بعض الحالات، يتم الجمع بين تجارب المرحلتين 1 و 2 ويشار إليهما بالمرحلة 2/1. تستغرق التجارب السريرية للمرحلة الثانية عادةً عدة أشهر إلى سنتين. تشير التقديرات إلى أن 30٪ من العلاجات التي تم اختبارها في تجارب المرحلة الثانية تنتقل إلى المرحلة التالية. لا يتقدم التطور السريري إلى ما بعد المرحلة الثانية إذا لم يكن العلاج فعالاً أو إذا وجدت مخاوف تتعلق بالسلامة.

المرحلة الثانية من العلاج الجيني بالهيموفيليا تضم التجارب السريرية ما بين 10-50 شخصًا مصابًا بالهيموفيليا. هذا الرقم أقل منه في حالات المرض الأخرى لأن الهيموفيليا مرض نادر. غالبًا ما يتم الجمع بين المرحلتين الأولى والثانية من التجارب السريرية للأمراض النادرة مثل الهيموفيليا. من خلال الجمع بين مراحل التجربة، يأمل مصنعو الأدوية في تسريع الجداول الزمنية لتطوير الأدوية الجديدة.

المرحلة 3

الغرض من المرحلة 3 من التجارب السريرية هو تأكيد فعالية العلاج ومراقبة الآثار الجانبية ومقارنة العلاج الجديد بالعلاجات القياسية أو العلاجات المماثلة. تُجرى تجارب المرحلة 3، التي يطلق عليها أحيانًا "تجربة محورية"، على عدد كبير من الأشخاص المصابين بالمرض وفي العديد من مواقع الدراسة المختلفة (الوطنية والدولية، اعتمادًا على الدراسة). تكون التجارب السريرية للمرحلة الثالثة في بعض الأحيان عشوائية وغالبًا ما تكون مزدوجة التعمية. عادةً ما تستغرق التجارب السريرية للمرحلة الثالثة من 1 إلى 4 سنوات وهي الخطوة الأخيرة قبل تقديم طلب إلى وكالة تنظيمية للموافقة على العلاج. ما يقدر بنحو 25٪ من تجارب المرحلة 3 تنتقل إلى دراسات المرحلة 4.

يتم تقديم البيانات المأخوذة من المرحلة الثالثة من الدراسة المحورية، وأحيانًا البيانات من المرحلة الأولى والثانية من التجارب السريرية، إلى الوكالة التنظيمية للمراجعة. تجري الوكالة التنظيمية تحليلات مستقلة حول سلامة وفعالية العلاج وتتخذ قرارًا بشأن ما إذا كان العلاج معتمدًا للاستخدام من قبل المرضى أم لا.

المرحلة 3 من التجارب السريرية للعلاج الجيني بالهيموفيليا تضم ما بين 50-150 شخصًا مصابًا بالهيموفيليا ويتم إجراؤها في مواقع الدراسة حول العالم.

المرحلة 4

تُجرى المرحلة 4، التي تسمى أحيانًا تجارب ما بعد التسويق، بعد حصول العلاج الجديد على موافقة الجهات التنظيمية ويكون متاحًا للمرضى. تسمح هذه الدراسات للباحثين بجمع معلومات إضافية حول المخاطر طويلة المدى (بما في ذلك الآثار الجانبية النادرة) وفوائد العلاج، فضلاً عن الاستخدام الأمثل في ظروف "العالم الحقيقي".

يتم تصميم التجارب السريرية وإجرائها لإيجاد طرق أفضل لتشخيص الأمراض أو الحالات وعلاجها والوقاية منها. يجب اختبار التدخل أو العلاج في تجربة سريرية للتأكد من أنه آمن وفعال، قبل الموافقة على استخدامه لعلاج المرضى من قبل وكالة تنظيمية (مثل وكالة الأدوية الأوروبية (EMA) أو إدارة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA)) بعض الأسباب الشائعة لإجراء التجارب السريرية: لتقييم علاج مرض أو متلازمة أو حالة:

- هل العلاج الجديد آمن وفعال؟
- كيف يمكن مقارنة تركيبة دواء جديدة مع العلاج الحالي؟
- هل العلاج الحالي آمن وفعال للاستخدام على مجموعة المرضى الجدد (مثل الأطفال)؟

على سبيل المثال، هناك العديد من التجارب السريرية الجارية، في مراحل مختلفة من التطوير، لتقييم مدى أمان وفعالية العلاج الجيني للأشخاص المصابين بالهيموفيليا.

كيف يتم إجراء التجارب السريرية؟

عملية التجارب السريرية

لكي يصبح الدواء علاجًا يمكن للأطباء وصفه، يجب أولاً اختباره في سلسلة من مراحل التجارب السريرية، ثم تقييمه والموافقة عليه من قبل وكالة تنظيمية. كل مرحلة من مراحل التجارب السريرية لها هدف، و تتم المراحل بالترتيب من المرحلة 1 إلى المرحلة 4.

المرحلة 1

هذه هي المرة الأولى التي يتم فيها اختبار علاج استقصائي جديد على الأشخاص. الغرض من التجارب السريرية للمرحلة الأولى هو تقييم السلامة والآثار الجانبية المرتبطة بالعلاج. غالبًا ما يتم تطبيق هذه المرحلة على مجموعة صغيرة من المتطوعين الأصحاء. ومع ذلك، في الأمراض النادرة، مثل الهيموفيليا، تُجرى تجارب المرحلة الأولى عادةً على الأشخاص المصابين بالهيموفيليا. عادةً ما تستغرق التجارب السريرية للمرحلة الأولى عدة أشهر وينتقل ما يقرب من 70٪ من العلاجات التي تم اختبارها في تجارب المرحلة الأولى إلى المرحلة التالية. أما النسبة الباقية و البالغة 30٪ من العلاجات والتي لم يثبت أنها آمنة في المرحلة الأولى فلا تتقدم إلى ما بعد المرحلة الأولى.

المرحلة الأولى من العلاج الجيني للهيموفيليا تضم التجارب السريرية ما بين 10-30 شخصًا مصابًا بالهيموفيليا.

كيف يتم اختبار العلاجات الجديدة في التجارب السريرية



النسبة المئوية من
العلاجات التي انتقلت الى
المرحلة التالية

±70%

من الدراسات
تكون ناجحة وتنتقل الى
المرحلة 2

±30%

تكون ناجحة وتنتقل الى
المرحلة 3

±25%

تكون ناجحة وتنتقل الى
المرحلة 4



غاية الدراسة

سلامة
نطاق الجرعة

سلامة و فعالية
الجرعة المختارة

السلامة
الفعالية



عدد الاشخاص
الخاضعين للتجربة*

~30-10

عدد صغير من
الأشخاص المصابين
بالهيموفيليا

~50-10

عدد اكبر قليلا من
الأشخاص المصابين
بالهيموفيليا

~150-50

مجموعة أكبر
من المصابين بالهيموفيليا

أكثر من

100

شخص مصاب
بالهيموفيليا



مدة الدراسة
الزمنية

عدة أشهر

من أشهر إلى
سنتين

من 1 إلى 4
سنوات

عدة سنوات



التجارب السريرية
المراحل

المرحلة 1

المرحلة 2

المرحلة 3

المرحلة 4

الموافقة التنظيمية

ترسل بيانات التجارب السريرية الى
احدى الوكالات التنظيمية
(EMA ، FDA ، على سبيل المثال)

إذا نجحت

علاج جديد
متاح للناس مع
الهيموفيليا

متابعة طويلة الامد

* عدد الأشخاص المصابين بالهيموفيليا المسجلين في التجارب السريرية أقل منه في حالات المرض الأخرى لأن الهيموفيليا مرض نادر

بروتوكول التجارب السريرية

لكل تجربة سريرية خطة مفصلة وشاملة لإجراء التجربة تسمى **البروتوكول**. تم تطوير بروتوكول التجارب السريرية للإجابة على أسئلة بحثية محددة ولحماية صحة المشاركين في الدراسة. تتم مراجعة البروتوكول والموافقة عليه من قبل إحدى الوكالات التنظيمية قبل أن تبدأ التجربة السريرية. تتضمن المعلومات الواردة في بروتوكول التجارب السريرية ما يلي:

- سبب إجراء الدراسة
- مجتمع الدراسة. يتم تحديد من يمكنه المشاركة من خلال معايير الأهلية.
- تذكير: الأهلية تشير إلى المتطلبات الأساسية التي يجب تليتها للأشخاص للمشاركة في تجربة سريرية. تشمل الأهلية معايير التضمين (المطلوبة للمشاركة) ومعايير الاستبعاد (التي تمنع الشخص من المشاركة). انظر المثال في الصفحة 15.
- عدد المشاركين الذين سيتم تسجيلهم في التجارب
- معلومات حول الأدوية / العلاجات التي سيتم استخدامها، بما في ذلك الاسم والجرعة (الجرعات)
- نهايات الدراسة
- زيارات العيادة والاختبارات والإجراءات التي يتعين على المشاركين القيام بها أثناء الدراسة وكم مرة
- إلى متى ستستمر الدراسة
- المعلومات التي سيتم جمعها عن المشاركين
- الحماية والتي تشكل جزء من الدراسة للوقاية من المخاطر للمشاركين في الدراسة

نقاط نهاية الدراسة

يحدد برنامج التطوير السريري للعلاج أو التدخل الجديد ما إذا كان العلاج الجديد فعالاً وآمناً. في بروتوكول التجارب السريرية، تكون نقطة النهاية الأولية هي مقياس النتيجة المخطط له وهو الأكثر أهمية لتقييم التدخل أو العلاج. اعتماداً على مرحلة التجربة السريرية، قد تركز نقطة النهاية الأولية على السلامة، مثل الأحداث الضارة المتعلقة بالعلاج و / أو التغييرات من خط الأساس في التقييمات المخبرية السريرية؛ أو الفعالية، مثل معدل النزف السنوي أو مستوى العامل.

أمثلة على نقاط نهاية الأمان والفعالية في التجارب السريرية للهِموفيليا (بما في ذلك تجارب العلاج الجيني):

نقاط نهاية الفعالية

نقاط نهاية السلامة

الأحداث السلبية؛ الأحداث الضارة الناشئة عن العلاج ؛ أحداث سلبية خطيرة	معدل النزيف السنوي
التغييرات من خط الأساس في التقييمات المخبرية السريرية	معدل نزيف المفاصل السنوي
أحداث الانصمام الخثاري	نوبات النزيف العفوي والصدمات
تفاعلات فرط الحساسية	مستويات العامل / النشاط
تطوير المانع.	عامل الاستعادة
الاستجابة المناعية / تطوير الأجسام المضادة	جودة المعيشة (استبيان)
ناقلات الجينوم في الدم والبول واللعاب والبراز والسائل المنوي	

المشاركة في التجارب السريرية

يجب أن تفكر مليًا في قرار المشاركة في تجربة سريرية ومناقشته مع طبيبك وعائلتك. بمساعدة طبيبك، يجب أن تقيم مزايا ومخاطر المشاركة بالإضافة إلى الالتزام بالوقت المطلوب للمشاركة.

الفوائد والمخاطر

من الأهمية بمكان فهم الفوائد والمخاطر المحتملة للمشاركة في تجربة سريرية.

الفوائد المحتملة

المخاطر المحتملة

قد تتمكن من الوصول إلى علاج جديد قبل توفره ويمكن أن تكون من بين أول المستفيدين	قد تواجه آثارًا جانبية غير مرغوب فيها للعلاج الجديد
ستحصل على دعم فريق رعاية الهيموفيليا الخبير الذي سيراقب صحتك عن كثب	قد لا يعمل العلاج الجديد من أجلك أو قد تتلقى العلاج الوهمي إذا كانت الدراسة خاضعة للتحكم الوهمي
سيكون لديك فرصة للعب دور فعال في تحسين صحتك وتحسين إدارة الهيموفيليا لديك	قد لا يكون العلاج الجديد قيد الدراسة أفضل من مستوى الرعاية الحالي
يمكنك مساعدة الأشخاص المستقبليين الذين تم تشخيصهم بالهيموفيليا من خلال المساهمة في تطوير علاج محتمل	قد تستغرق التجربة وقتًا أطول من العلاج المعتاد؛ قد يكون لديك المزيد من زيارات الطبيب والاختبارات

أهمية التوقعات

يحتاج المشاركون المحتملون في التجارب السريرية إلى تذكر أن الغرض من التجربة السريرية هو دراسة علاج أو تدخل جديد..

- هذا يعني أنه من غير المعروف مسبقًا ما إذا كان المشاركون سيستفيدون من المشاركة في الدراسة أم لا.
- قد يكون العلاج الذي يتم تلقيه أثناء تجربة سريرية مختلفًا تمامًا عن ممارسات علاج الهيموفيليا الروتينية للشخص
- قد تكون هناك مخاطر غير معروفة مرتبطة بالمشاركة في الدراسة

من يمكنه المشاركة في تجربة سريرية؟

تتم دعوة المرضى للانضمام إلى التجارب السريرية من خلال فريق الرعاية الصحية الخاص بهم، بناءً على معايير الأهلية للدراسة. تشير الأهلية إلى المتطلبات الأساسية التي يجب أن يستوفيها الأشخاص ليتمكنوا من المشاركة في تجربة سريرية. تساعد هذه المعايير في ضمان سلامة المشاركين والتأكد من أن الأسئلة البحثية المحددة التي تتم دراستها في التجربة السريرية قد يتم الإجابة عليها بدقة.

لكل دراسة معايير للاشتغال ومعايير للاستبعاد.

- **معايير الاشتغال:** هي الشروط التي يجب تليينها للسماح للشخص بالمشاركة في تجربة سريرية
- **معايير الاستبعاد:** الأسباب التي تمنع الشخص من المشاركة في دراسة سريرية

بالنسبة لتجارب الهيموفيليا السريرية، تعتبر شدة الهيموفيليا ونوعها والعمر وحالة المشط وتاريخ العلاج الوقائي عوامل شائعة تحدد الأهلية. تعد كل تجربة سريرية فريدة من نوعها فتختلف معايير الأهلية من دراسة إلى أخرى. تبدأ العديد من التجارب السريرية على البالغين أولاً، قبل دراسة تأثير العلاج الجديد على الأطفال. لهذا السبب، من الشائع جدًا رؤية العمر مدرجًا كمعيار للاشتغال.

هل تريد معرفة المزيد عن معايير الأهلية؟

الأشخاص المصابون بالهيموفيليا المهتمون بالمشاركة في تجربة سريرية سيخضعون لـ "عملية فحص" حيث سيحدد فريق البحث ما إذا كان هذا الشخص مستوف لمعايير الأهلية للدراسة. ستشمل عملية الفحص مراجعة التاريخ الطبي للمريض المصاب بالهيموفيليا والحالة الطبية الحالية، بالإضافة إلى مناقشات حول أدوار ومسؤوليات المشاركين، والمخاطر والفوائد المحتملة للمشاركة.

من المهم أن نفهم أنه لن تتاح الفرصة للمشاركة في تجربة سريرية لكل المهتمين بالمشاركة. وهذا لأن بعض جوانب التاريخ الطبي للشخص لا تفي بمعايير الاشتغال للتجربة (على سبيل المثال، قد تقوم دراسة بتسجيل مرضى مصابين بالهيموفيليا لعمر معين فقط) علاوة على ذلك، سيكون لكل تجربة سريرية عدد تقديري من المشاركين للتسجيل المخطط له، عندما تستوفي التجربة السريرية العدد المطلوب من الأشخاص المسجلين، سيتوقف قبول مشاركين إضافيين في الدراسة.

راجع المثال (افتراضي) لمعايير الأهلية للتجارب السريرية للهيموفيليا صفحة ١٥.

مراقبة سلامة المريض في التجارب السريرية *

قبل بدء التجربة*

تطوير خطة المراقبة مراقبة
السلامة خلال الدراسة



١ ممول الدراسة

استعراض السلامة والآثار الجانبية
بشكل منتظم
تلقي التحديثات حول سلامة الدراسة

* خلال التجربة

الموافقة على الدراسة قبل أن تبدأ بناء
على بروتوكول الدراسة تقديم إرشادات
بشأن تقارير السلامة



٢ الوكالة التنظيمية

استعراض الدراسة لتقييم الفوائد
والمخاطر المحتملة
الموافقة على الدراسة ليتم إجراؤها في
مستشفى محدد



٣ مجلس المراجعة
المؤسسي

توفير الإشراف العام والمراقبة في
موقع البحث

حماية المرضى أثناء التجارب السريرية

إن ضمان سلامة المرضى له أهمية قصوى أثناء عملية التجارب السريرية. هناك العديد من مستويات الموافقة على الدراسة ومراقبتها لحماية سلامة المشاركين في التجارب السريرية، كما ويوجد نظام لجمع نتائج السلامة والإبلاغ عنها أثناء الدراسة.

بغض النظر عن مرحلة التجربة السريرية، يجب مراجعة كل دراسة والموافقة عليها من قبل وكالة تنظيمية قبل أن يتم تسجيل المرضى للمشاركة. يقوم راعي الدراسة، وغالبًا ما يكون الشركة المصنعة للعلاج قيد الدراسة، بتطوير بروتوكول دراسة يتضمن قسمًا حول كيفية مراقبة سلامة العلاج طوال فترة الدراسة. يجب بعد ذلك الموافقة على بروتوكول الدراسة من قبل وكالة تنظيمية، مثل إدارة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA) أو وكالة الأدوية الأوروبية.

(EMA) وبمجرد الموافقة على الدراسة وتحديد المواقع التي ستتم فيها الدراسة، تقدم المواقع المشاركة بروتوكول الدراسة إلى مجلس المراجعة المؤسسية الذي يستخدمه المستشفى أو مركز علاج الهيموفيليا لغايات استصدار الموافقة، وبمجرد الموافقة على الدراسة، تتم مراقبة سلامة المرضى المشاركين طوال فترة الدراسة من قبل مجلس مراقبة سلامة البيانات، أو راعي الدراسة أو الشركة المصنعة لعلاج الدراسة، وكذلك من قبل المتخصصين في الرعاية الصحية المعنيين ويلعب الأشخاص المصابين بالهيموفيليا المسجلين في دراسة دورا في الدراسة حيث يقوم المصابين المشاركين بإبلاغ فريق الدراسة في مركز العلاج الخاص بهم عن أي آثار جانبية أو أحداث تتعلق بالسلامة.

وضع خطة لمراقبة بيانات السلامة خلال الدراسة

تقييم أهلية المريض للتأكد من المشاركة الآمنة في الدراسة

التعلم خطة الدراسة بقدر الإمكان ، بما في ذلك المخاطر والفوائد المحتملة

4

لوحة مراقبة سلامة البيانات

مراقبة جميع بيانات الدراسة؛ واتخاذ الإجراءات في حالة وجود مخاطر تتعلق بالسلامة

5

مقدمي الرعاية الصحية

إجراء مراقبة دقيقة لصحة المشاركين الإبلاغ عن الأحداث السلبية للجهة الرعاية والتنظيمية

6

الأشخاص المصابون بالهيموفيليا

تتبع خطة الدراسة والإبلاغ عن أي آثار جانبية و / أو مخاوف محتملة في كل زيارة دراسية

الموافقة المسبقة

يجب على كل مشارك يتطوع للمشاركة في تجربة سريرية التوقيع على نموذج موافقة مستنيرة قبل التسجيل في الدراسة (أو يمكن لأحد الوالدين التوقيع على نموذج موافقة لطفله في حالة المشاركين القصر). توفر الموافقة المستنيرة معلومات للمرشحين حول التجربة وتشرح المخاطر والفوائد المحتملة المرتبطة بالمشاركة قبل أن يتخذ الشخص قرار الموافقة على المشاركة. تتضمن عملية الحصول على الموافقة المستنيرة مناقشة مع فريق الدراسة قبل التوقيع على النموذج:

بشكل عام، تتضمن عملية الموافقة المستنيرة ما يلي:

- تزويد المرشح للمشاركة في الدراسة بمعلومات كافية للسماح باتخاذ قرار مستنير بشأن المشاركة في التجربة السريرية
- التأكد من أن المرشح لديه فهم كامل للمعلومات المقدمة
- التأكد من وجود قدر مناسب من الوقت (بما في ذلك زيارات متعددة) لطرح الأسئلة ومناقشة بروتوكول البحث مع العائلة والأصدقاء لاتخاذ قرار بشأن المشاركة
- الحصول على الموافقة الطوعية للمرشح
- توفير المعلومات على أساس مستمر حسب تقدم التجربة السريرية أو كما يتطلب الموقف

فيما يلي قائمة مفصلة من وكالة تنظيمية، في هذا المثال إدارة الغذاء والدواء الأمريكية. كجزء من عملية الموافقة المستنيرة، يجب تقديم هذه المعلومات لكل بحث محتمل قبل التسجيل في تجربة سريرية:

- بيان يوضح أن الدراسة تشمل البحث
- شرح لأغراض البحث
- المدة الزمنية المتوقعة للمشاركة
- وصف لجميع الإجراءات التي سيتم استكمالها أثناء التسجيل في التجربة السريرية
- معلومات حول جميع الإجراءات التجريبية التي سيتم الانتهاء منها أثناء التجربة السريرية
- وصف لأي مخاطر يمكن التنبؤ بها
- أي مضايقات محتملة (مثل الحقن وتكرار فحص الدم وما إلى ذلك) قد تحدث كنتيجة للبحث
- أي فوائد محتملة يمكن توقعها من البحث
- معلومات حول أي إجراءات أو علاج بديل (إن وجد) قد يفيد موضوع البحث
- بيان يصف:
 - سرية المعلومات التي سيتم جمعها أثناء التجربة السريرية
 - كيفية الاحتفاظ بالسجلات التي تخص الموضوع
 - إمكانية قيام إدارة الغذاء والدواء بفحص السجلات
- بالنسبة للأبحاث التي تتضمن أكثر من الحد الأدنى من المخاطر، تتضمن المعلومات توضيحاً عن أي تعويض أو علاجات طبية متاحة في حالة حدوث إصابة وطبيعتها، وأين يمكن العثور على مزيد من المعلومات
- المشاركة في موضوع البحث طوعية
- يحق للأشخاص الخاضعين للبحث رفض العلاج ولن يفقدوا أي مزايا أو مستحقات
- قد يختار الأشخاص الذين يخضعون للبحث التوقف عن المشاركة في التجارب السريرية في أي وقت دون خسارة أي مزايا أو مستحقات



أسئلة يجب طرحها قبل المشاركة في تجربة سريرية

بالنسبة للأشخاص الذين يفكرون في المشاركة في تجربة سريرية، من المهم للغاية معرفة أكبر قدر ممكن من المعلومات عن التجربة السريرية والرعاية المتوقعة، والتكلفة، والفريق الذي سيجري التجربة. من المتوقع أن يكون لديك أسئلة، ومن الضروري أن تتم الإجابة على أسئلتك. قد يكون من المفيد تدوين قائمة بالأسئلة التي يجب طرحها قبل الاجتماع بفريق أبحاث التجارب السريرية.

أمثلة

الغرض والإجراءات

- ☐ ما هو الغرض من التجربة السريرية؟
- ☐ إذا كان الباحثون يدرسون عقارًا أو علاجًا تجريبيًا، فلماذا يعتقدون أنه سيكون فعالًا بالنسبة لي؟
- ☐ من قام بمراجعة واعتماد الدراسة؟
- ☐ كم عدد الأشخاص الذين سيتم تضمينهم في الدراسة؟
- ☐ هل يمكنني التحدث إلى أشخاص آخرين يشاركون في الدراسة؟
- ☐ ما هي أنواع الفحوصات والإجراءات الطبية التي سيتم إجراؤها؟
- ☐ هل ستكون الاختبارات والإجراءات هي نفسها لكل زيارة دراسية أم ستتغير بمرور الوقت؟
- ☐ كم مرة يتوجب على زيارة المستشفى أو العيادة؟ هل ستتطلب أي من هذه الزيارات المبيت؟
- ☐ هل هناك فرصة لتلقي دواء وهمي؟
- ☐ إذا نجحت التجربة، ما الذي ستظهره النتائج؟

المخاطر والفوائد المحتملة

- ☐ ما هي المخاطر والفوائد المحتملة للمشاركة؟
- ☐ ما الآثار الجانبية المحتملة قصيرة وطويلة المدى لهذا العلاج؟
- ☐ ما هي الخطوات التي سيتم اتخاذها لمراقبة سلامتي؟
- ☐ من الذي سيشرف على رعايتي الصحية أثناء المشاركة؟
- ☐ هل ستكون سجلات الرعاية الصحية الخاصة بي ونتائج الدراسة سرية؟
- ☐ إذا كان العلاج مناسبًا لي، فهل يمكنني الاستمرار في استخدامه بعد انتهاء الفترة التجريبية؟

مخاوف عملية

- ☐ أين سألتقى رعايتي الطبية؟
- ☐ هل سأكون قادرًا على رؤية فريق الرعاية الصحية الخاص بي؟
- ☐ بمن أتصل إذا كانت لدي أسئلة أثناء التجربة؟
- ☐ هل سيتغير علاجي ورعايتي إذا انضمت إلى هذه الدراسة؟ إذا كانت الإجابة نعم، فكيف؟
- ☐ هل ستكون نتائج التجربة السريرية متاحة للمشاركين؟
- ☐ من الذي يمول الدراسة ويدعمها؟
- ☐ هل هناك أي تكاليف مرتبطة بالمشاركة؟
- ☐ إذا شاركت في هذه التجربة السريرية، فهل ستمنعني من المشاركة في تجربة سريرية أخرى في المستقبل؟

يلعب أعضاء فريق الرعاية الصحية دورًا حيويًا في التأكد من أن المشاركين المحتملين في الدراسة يفهمون تمامًا معنى أن يكونوا جزءًا من تجربة سريرية.

مكونات عملية الموافقة المستنيرة

تلبية احتياجات المشاركين المحتملين في التجارب السريرية

هل تم تقديم معلومات شاملة عن التجربة السريرية في شكل ومستوى مناسب، وباللغة الأفضل للفرد؟	تزويد المشارك المحتمل في الدراسة بمعلومات كافية للسماح باتخاذ قرار مستنير بشأن المشاركة في التجربة السريرية
هل هناك عملية قائمة (على سبيل المثال، "إعادة التعليم") لتأكيد فهم التجربة السريرية، بما في ذلك: دور المريض، وكيف ستعمل التجربة، وتكرار الزيارات الدراسية، وما الذي سيحدث في الزيارات الدراسية، الوقت الذي يجب الالتزام به إجمالاً، والمخاطر المحتملة وفوائد المشاركة؟	التأكد من أن المشارك المحتمل لديه فهم كامل للمعلومات المقدمة
هل تم تخصيص الوقت الكافي لتشجيع الأسئلة والإجابة عليها؟	التأكد من وجود وقت مناسب لطرح الأسئلة ومناقشة بروتوكول البحث مع العائلة والأصدقاء لاتخاذ قرار بشأن المشاركة
هل تم توفير معلومات الاتصال لمتابعة المناقشات أو الأسئلة؟	الحصول على الموافقة الطوعية للمشارك المحتمل للمشاركة
هل تم تشجيع المرشحين على مناقشة التجربة السريرية مع أحبائهم / الحصول على مدخلات إضافية قبل اتخاذ قرار بشأن المشاركة؟	توفير المعلومات على أساس مستمر مع تقدم التجربة السريرية أو حسب الموقف

ملاحظة حول السرية

قد يكون لدى الأفراد الذين يفكرون في المشاركة في تجربة سريرية أسئلة حول معلومات الرعاية الصحية وخصوصيتهم. تشير السرية إلى الحفاظ على الخصوصية بمعلومات ذات صلة بالصحة يمكن تحديدها بشكل فردي للأشخاص الذين يشاركون في التجارب السريرية. يتضمن ذلك سجلات البحث المتعلقة بتحديد الهوية (مثل الاسم) والتشخيص والعلاج أو أي معلومات أخرى متعلقة بالمشارك. في الحالات التي يتم فيها نشر نتائج التجارب السريرية في مجلة محكمة، يتم حذف المعلومات المتعلقة بشخصية المريض، ويتم الحفاظ على الخصوصية في مثل هذه التقارير.

من يشارك في التجارب السريرية؟

تشارك عدة مجموعات من الأشخاص في عمليات التجارب السريرية، ولديهم جميعًا مسؤوليات وأدوار مختلفة. يلعب المشاركون ومقدمو الرعاية الصحية دورًا مهمًا طوال مدة التجربة السريرية. ومن المهم أن يفهم كل من المشاركين ومقدمي الرعاية الصحية أدوارهم تمامًا.

أدوار المريض ومقدم الرعاية الصحية في التجارب السريرية



مزود الرعاية الصحية



عملية التجارب السريرية



مشارك / مريض

تثقيف / توفير الموارد للمشاركين حول التجارب السريرية بشكل عام تبادل المعلومات حول فرص التجارب السريرية المحتملة	الوصول إلى التجارب السريرية	تعرف على عملية التجارب السريرية اسأل فريق الرعاية الصحية الخاص بك عن فرص التجارب السريرية ابحث في مواقع التجارب السريرية عن الفرص (clinicaltrials.gov)
كن على اطلاع جيد بخطة الدراسة والأهداف أجب عن الأسئلة المتعلقة بروتوكول الدراسة	تجنيد	كن على اطلاع جيد بتفاصيل الدراسة
حدد المشاركين المحتملين بناءً على معايير الأهلية مراجعة التاريخ الطبي وإجراء الاختبارات والتقييمات كجزء من عملية الفحص شارك في المناقشات مع المشاركين المحتملين	بروتوكول التجارب السريرية	المشاركة في عملية الفرز، بما في ذلك أي اختبارات وتقييمات، والمشاركة في المناقشات مع أعضاء فريق البحث
قدم معلومات شاملة عن التجربة السريرية بالشكل المناسب والمستوى واللغة المناسبة للمشارك تأكد من أن المشارك يفهم جميع جوانب عملية التجارب السريرية خصص وقتاً كافياً للتشجيع والإجابة على الأسئلة قم بتعيين شخص ليقوم بدور نقطة اتصال لأسئلة المتابعة استخدم أداة صنع القرار المشترك لتوجيه المناقشات بين المشارك وفريق الرعاية الصحية إن أمكن	عملية الموافقة المستنيرة	قم بمراجعة جميع المعلومات المتعلقة بالتجربة السريرية بما في ذلك كيفية عمل التجربة، وموقع وتكرار الزيارات الدراسية، والالتزام بالوقت الإجمالي، والمخاطر المحتملة، وفوائد المشاركة ضع قائمة بالأسئلة وتأكد من الإجابة على جميع الأسئلة ناقش فرصة المشاركة في تجربة سريرية مع أحد أفراد أسرته أو مستشار موثوقاً به
إجراء جميع تقييمات / قياسات الدراسة لتقييم السلامة والفعالية وفقاً لبروتوكول الدراسة وفر فرصاً للمشاركين للإبلاغ عن الآثار الجانبية المحتملة، ومشاركة المخاوف، وطرح الأسئلة	الزيارات الدراسية	حضور جميع الزيارات الدراسية اخضع لاختبارات وتقييمات لكل بروتوكول تواصل مع فريق البحث بشأن الآثار الجانبية أو المخاوف المحتملة اسأل أسئلة
لخص نتائج الدراسة بالتنسيق واللغة المفضلين للمشاركين زود المشاركين بملخص لنتائج الدراسة	نتائج الدراسة	تعرف على نتائج الدراسة، وكيف يمكن أن يؤثر ذلك على الدراسات المستقبلية أو رعاية الهيموفيليا
تعزيز أهمية المتابعة طويلة المدى و / أو المشاركة في سجل المرضى حسب الاقتضاء	المراقبة طويلة المدى	المشاركة في المتابعة طويلة المدى و / أو تسجيل المرضى حسب الاقتضاء

يرجى الاطلاع على الأدوار والمسؤوليات لكل من هذه المجموعات أدناه.

مجلس مراقبة سلامة البيانات: مجموعة من العلماء المستقلين الذين يراقبون سلامة التجارب السريرية.

الباحث الرئيسي: الشخص (الأشخاص) المسؤول عن التجارب السريرية. غالبًا ما يكون الباحث الرئيسي أو "الباحث الرئيسي" طبيبًا.

منسق بحث: شخص مسؤول عن إجراء التجارب السريرية وفقًا لمبادئ الممارسة المختبرية الجيدة (GLP) وتحت إشراف باحث رئيسي.

فريق البحث السريري: أعضاء فريق الرعاية الصحية المشاركين في إجراء تجربة سريرية. يشمل ذلك الأطباء والممرضات ومساعدات الأطباء والصيادلة والعلماء وغيرهم ممن يدعمون المشاركين في التجربة من خلال إجراء الاختبارات والتقييمات / التقييمات في الزيارات الدراسية وجمع البيانات وتنفيذ جميع جوانب بروتوكول التجارب السريرية.

المرضى: الأفراد الذين يستوفون معايير الأهلية ويشاركون في تجربة سريرية.

السلطات التنظيمية: لكل دولة سلطاتها التنظيمية الخاصة بها مع اللوائح والقوانين المتعلقة بإجراء التجارب السريرية. تقوم السلطة التنظيمية بمراجعة واعتماد بروتوكولات التجارب السريرية قبل بدء الدراسات وتضمن أن جميع التجارب السريرية تتبع اللوائح الوطنية. تتواصل الوكالة التنظيمية مع الباحثين طوال فترة التجربة السريرية، وتقوم في نهاية التجربة بمراجعة جميع بيانات السلامة والفعالية في برنامج التطوير السريري من أجل تحديد إمكانية الموافقة على العلاج / التدخل الجديد وإتاحته للجمهور.

الداعم / الممول: شخص أو شركة أو مؤسسة أو مجموعة أو منظمة تتحمل مسؤولية بدء وإدارة و / أو تمويل تجربة سريرية.

مجلس المراجعة المؤسسية (IRB): مجموعة من العلماء والأطباء وغير العلماء والمدافعين عن حقوق المرضى الذين يراجعون ويوافقون على الخطة التفصيلية للتجربة السريرية. تهدف مجالس المراجعة المؤسسية إلى حماية الأشخاص الذين يشاركون في التجارب السريرية. في البلدان خارج الولايات المتحدة، تسمى هذه المجموعة لجنة الأخلاقيات.

العلاج الجيني كأداة لإجراء التجارب السريرية للهيموفيليا



تقدمت عيادات العلاج الجيني للهيموفيليا باستخدام أداة الاتحاد العالمي للهيموفيليا للعلاج الجيني لتتبع التجارب السريرية والبقاء على اطلاع بالبحوث الحالية.

مثال 1

مثال على معايير الأهلية في تجربة سريرية للعلاج الجيني (افتراضي)

الجرعة التصاعدية المفردة ذات العلامة المفتوحة من العلاج الجيني XYZ عند البالغين المصابين بالهيموفيليا ب

معايير الاستبعاد

معايير الاشتمال

الذكور ما بين 18-75 سنة

تاريخ عائلي لمثبط بروتين FIX أو دليل مختبري شخصي على تطوير مثبطات لبروتين FIX في أي وقت (< 0.6 وحدة Bethesda في أي اختبار واحد)

الهيموفيليا B المثبتة مع < 3 نزيف سنويًا يتطلب علاجًا بعامل FIX خارجي أو استخدام الوقاية من FIX بسبب تاريخ نوبات النزيف المتكررة

رد الفعل التحسسي الموثق المسبق لأي منتج من منتجات FIX

العلاج الجيني القابل للكشف XYZ تحييد الأجسام المضادة

نشاط البلازما $\text{FIX} \leq 2\%$

علامات الالتهاب الكبدي أو التشمع الصريح أو الخفي كما يتضح من واحد أو أكثر مما يلي:

سلبي لفيروس التهاب الكبد الوبائي سي (HCV) ، المعروف على أنه جسم مضاد لفيروس التهاب الكبد الوبائي سي سلبيًا وسليبيًا (لا يمكن اكتشافه) اختبارات تفاعل البوليميراز المتسلسل (PCR) لبلازما HCV RNA بفاصل 3 أشهر على الأقل ، وسلبية عند الفحص

- عدد الصفائح الدموية $> 175,000$ / ميكرو لتر
- الألبومين 3.5 جم / ديسيلتر
- إجمالي البيليروبين $< 1.5 \times$ أقصى حد عادي والبيليروبين المباشر 0.5 مجم / ديسيلتر
- الفوسفاتاز القلوي $< 2.0 \times$ أقصى حد عادي
- ALT أو AST $> 2.0 \times \text{ULN}$ (باستثناء الأشخاص المصابين بفيروس نقص المناعة البشرية)
- تشير خزعة الكبد في الماضي إلى تليف معتدل أو شديد (Metavir staging of 2 or more)
- تاريخ من الاستسقاء والدوالي ونزيف الدوالي أو اعتلال الدماغ الكبدي

قائمة المصطلحات

مجموعة التحكم: المجموعة الخاضعة للتجربة السريرية التي لا تتلقى العلاج الجديد قيد الدراسة.

تجربة سريرية مضبوطة: تجربة سريرية تتضمن مجموعة مقارنة. قد تتلقى مجموعة المقارنة هذه علاجًا وهميًا أو علاجًا آخر أو لا تتلقى أي علاج على الإطلاق.

لوحة مراقبة سلامة البيانات: مجموعة من العلماء المستقلين الذين يراقبون سلامة التجارب السريرية.

خطة مراقبة سلامة البيانات: خطة مكتوبة تحدد بشكل مسبق وتوثق أنشطة المراقبة المصممة لحماية سلامة المشاركين في تجربة سريرية، وصحة البيانات التي تم جمعها، وسلامة الدراسة البحثية.

تصعيد الجرعة: زيادة تدريجية في جرعة أو قوة العلاج لزيادة التأثير إلى أقصى حد مع تحسين التحمل أو الحفاظ عليه، وتجنب الآثار الجانبية الضارة.

دراسة تصعيد الجرعة: نوع من الدراسة يساعد على تحديد أفضل جرعة من دواء أو علاج جديد. عادة ما يتضمن هذا النوع من الدراسة عددًا صغيرًا من الأشخاص، ويتم زيادة جرعة العلاج الجديد قليلاً في كل مرة في مجموعات مختلفة من المشاركين، مع مراقبة الآثار الجانبية الضارة بعناية.

تجربة سريرية مزدوجة التعمية: نوع من التجارب السريرية لا يعرف فيه المشاركون في الدراسة ولا الباحثون العلاج الذي يتلقاه المشاركون حتى اكتمال الدراسة.

فعالية: قدرة العلاج أو التدخل على إحداث الأثر المفيد المطلوب.

أهلية: المتطلبات الأساسية التي يجب تلبيتها للأشخاص للمشاركة في تجربة سريرية. تشمل الأهلية معايير الاشتغال (المطلوبة للمشاركة) ومعايير الاستبعاد (التي تمنع الشخص من المشاركة).

التسجيل: عدد المشاركين في دراسة سريرية.

معايير الاستبعاد: نوع من معايير الأهلية. وهي أسباب تمنع الشخص من المشاركة في دراسة سريرية.

الذراع التجريبية: مجموعة الدراسة من المشاركين الذين تلقوا تدخلًا أو علاجًا يكون محور التجربة السريرية (على عكس ذراع الدواء الوهمي أو المجموعة الضابطة).

دراسة موسعة: غالبًا ما يطلق عليها الدراسة المفتوحة أو الدراسة الموسعة طويلة الأجل، وهذا نوع من التجارب السريرية التي تسجل المشاركين في تجربة سريرية سابقة وهي مصممة لجمع بيانات أمان وتحمل إضافية حول علاج أو تدخل جديد محتمل على مدى وقت أطول من فترة التجربة السريرية الأصلية / الرئيسية.

ممارسة سريرية جيدة: مجموعة دولية من الإرشادات التي تغطي الطريقة التي يتم فيها تصميم التجارب السريرية وإجرائها وتنفيذها ومراقبتها ومراجعتها وتسجيلها وتحليلها وإعداد التقارير عنها؛ بهدف ضمان حماية المشاركين، وضمان موثوقية النتائج.

متطوع صحي: شخص لا يعاني من حالات صحية خطيرة معروفة ويشارك في البحث السريري.

الإنسان موضوع الدراسة: مشارك في دراسة بحثية.

الإدارة: في التجارب السريرية، عملية إعطاء علاج (مثل عقار) للمريض. يمكن أن يشير أيضًا إلى الطريقة التي يتم بها تقديم العلاج (على سبيل المثال، عن طريق الفم، في الوريد، عن طريق الاستنشاق، في العضل، إلخ)، والجرعة، أو عدد مرات تقديم العلاج.

حدث سلبي: مشكلة طبية، بما في ذلك النتائج المعملية غير الطبيعية التي تحدث أثناء العلاج بدواء أو علاج آخر. قد تكون الأحداث السلبية خفيفة أو معتدلة أو شديدة. في التجربة السريرية، قد يحدث الحدث السلبي بسبب شيء آخر غير العلاج الذي يتم اختباره.

ذراع (ذراع الدراسة): غالبًا ما يتم تقسيم المشاركين في التجارب السريرية إلى مجموعات. يشير مصطلح "الذراع" إلى كل مجموعة أو مجموعة فرعية من المشاركين في تجربة سريرية تتلقى تدخلات محددة (أو لا تتلقى أي تدخل) وفقًا لبروتوكول الدراسة.

الخصائص الأساسية: البيانات الديموغرافية والسريرية وغيرها من البيانات التي تم جمعها في بداية تجربة سريرية قبل التدخل والتي يمكن استخدامها للمقارنة بمرور الوقت للبحث عن التغييرات.

دراسة عمياء: نوع من الدراسة لا يعرف فيه المشاركون العلاج الذي يتلقونه. في الدراسة العمياء، لا يعرف المرضى / المتطوعون العلاج الذي يتلقونه ولكن يكون فريق البحث على دراية بعلاجهم. في الدراسة مزدوجة التعمية، لا يعرف المرضى ولا الباحثون وظائف العلاج (فقط الصيدلي يعرف). تساعد التعمية على تقليل أي تحيز في نتائج الدراسة.

الأبحاث السريرية: البحوث الطبية التي يتم فيها دراسة متطوعين بشريين (بما في ذلك الأشخاص الذين يعانون من حالات صحية معينة) أو بيانات أو عينات من أنسجة من أشخاص لفهم الصحة والمرض بشكل أفضل. هناك نوعان رئيسيان من البحوث أو الدراسات السريرية: التجارب السريرية والدراسات القائمة على الملاحظة.

منسق البحوث السريرية (منسق الدراسة): شخص مسؤول عن إجراء التجارب السريرية وفقًا لمبادئ الممارسة المختبرية الجيدة (GLP) وتحت إشراف باحث رئيسي.

تجربة سريرية: نوع من الدراسة البحثية يختبر فيها الباحثون طرقًا جديدة للوقاية من المرض أو اكتشافه أو علاجه. قد يتلقى المشاركون في التجربة السريرية تدخلات محددة وفقًا لبروتوكول مفصل لتلك التجربة السريرية. قد تكون هذه التدخلات منتجات طبية، مثل الأدوية أو الأجهزة أو الإجراءات الجراحية أو تغييرات في السلوك، مثل النظام الغذائي للمشاركة. قد تقارن التجارب السريرية نهجًا طبيًا جديدًا بأسلوب قياسي متوفر بالفعل، أو مع دواء وهمي، أو بدون تدخل. التجارب السريرية هي الطريقة الرئيسية التي يستخدمها الباحثون لمعرفة ما إذا كان العلاج الجديد آمنًا وفعالًا لدى الأشخاص.

السرية: الحفاظ على خصوصية المعلومات المتعلقة بالصحة التي يمكن من خلالها تحديد هوية الأشخاص المشاركين في التجارب السريرية. يتضمن ذلك سجلات البحث المتعلقة بالهوية (مثل الاسم) أو التشخيص أو العلاج أو أي معلومات أخرى يمكن ربطها بالمشارك. في الحالات التي يتم فيها نشر نتائج التجارب السريرية في مجلة محكمة، يتم إلغاء المعلومات المتعلقة بهوية المريض، ويتم الحفاظ على الخصوصية في مثل هذه التقارير.

معايير الاشتغال: نوع من معايير الأهلية للتجربة السريرية. وهي الشروط التي يجب تلبثها للسماح للشخص بالمشاركة في تجربة سريرية.

موافقة مسبقة: عملية يستخدمها الباحثون لتقديم معلومات شاملة وشرح المخاطر والفوائد المحتملة حول تجربة سريرية قبل أن يقرر الشخص ما إذا كان يريد المشاركة.

مجلس المراجعة المؤسسية (IRB): مجموعة من العلماء والأطباء وغير العلماء والمدافعين عن حقوق المرضى الذين يراجعون ويوافقون على الخطة التفصيلية للتجربة السريرية. تهدف مجالس المراجعة المؤسسية إلى حماية الأشخاص الذين يشاركون في التجارب السريرية. في البلدان خارج الولايات المتحدة، تسمى هذه المجموعة لجنة الأخلاقيات.

تحليل مؤقت: تحليل البيانات التي تم جمعها في تجربة سريرية قبل الانتهاء الرسمي للدراسة.

تدخل: علاج أو إجراء للوقاية من المرض أو علاجه أو تحسين الصحة يكون محور دراسة سريرية.

باحث: شخص يشارك في إجراء تجربة سريرية أو دراسة بحثية. يمكن أن يشمل الباحثون الأطباء والعلماء والمرضى والأخصائيين الاجتماعيين وغيرهم من المتخصصين في الرعاية الصحية.

المتابعة طويلة المدى: التقييمات الموسعة التي تستمر في بعض الملاحظات المجدولة للتجربة السريرية بعد فترة المتابعة النشطة. في حالة تجارب العلاج الجيني البشري، قد تكون هذه المدة 5-15 سنة.

قناع: مثل "التعمية" في تجربة سريرية. تصمم الدراسات المقنعة لمنع المشاركين وأعضاء فريق البحث من التأثير على نتائج الدراسة.

آلية العمل: مصطلح يستخدم لوصف كيف يحدث دواء أو علاج تأثيراً في الجسم.

تجربة متعددة المراكز: تجربة سريرية تجرى في أكثر من مؤسسة طبية.

دراسة مبنية على الملاحظة: في الدراسة القائمة على الملاحظة، يقيس الباحثون نتائج صحية معينة في مجموعات من المشاركين وفقاً لخطة بحث أو بروتوكول. لا يتم تعيين المشاركين لتدخلات محددة من قبل الباحث (كما هو الحال في تجربة سريرية) ولكنهم قد يتلقون علاجاً يعد بالفعل جزءاً من رعايتهم الطبية الروتينية.

تجربة سريرية مفتوحة التسمية: نوع من التجارب السريرية يعرف فيه المشاركون والباحثون العلاج الذي يُعطى للمشاركين.

قياس النتيجة: المقياس المختار لتقييم تأثير العلاج أو التدخل في تجربة سريرية.

مرحلة: تجرى التجارب السريرية على مراحل تدريجية. التجارب في كل مرحلة لها غرض محدد، وتساعد الباحثين على الإجابة على أسئلة مختلفة.

العلاج الوهمي: علاج يبدو وكأنه علاج جديد يتم اختبارها في تجربة سريرية ولكن لا يحتوي على أي مكونات نشطة.

تجربة وهمية: دراسة سريرية تتم فيها مقارنة العلاج موضع الاختبار بمجموعة تحكم تتلقى علاجاً وهمياً (علاج يشبه العلاج التجريبي ولكن لا يحتوي على أي مكونات نشطة).

نقطة النهاية الأولية: في بروتوكول الدراسة السريرية، يعتبر قياس النتيجة المخطط له الأكثر أهمية لتقييم تأثير التدخل / العلاج.

الباحث الرئيسي: الشخص (الأشخاص) المسؤول عن التجارب السريرية. غالباً ما يكون الباحث الرئيسي أو "الباحث الرئيسي" طبيباً.

بروتوكول: الخطة التفصيلية التي تتبعها التجربة السريرية، بما في ذلك الهدف من الدراسة، من هو المؤهل للمشاركة، وعدد المشاركين المطلوبين، والحماية من مخاطر المشاركين في الدراسة، وتفاصيل حول الاختبارات، والإجراءات، والعلاجات، والمدة المتوقعة للتجربة، وما هي المعلومات التي سيتم جمعها.

العشوائية: العملية التي يتم من خلالها تخصيص العلاجات للمشاركين في تجربة سريرية عن طريق الصدفة وليس عن طريق الاختيار. لا يختار الباحث ولا المشارك العلاج الذي سيتلقاه مشارك معين.

حالة التوظيف: حالة تسجيل عدد المشاركين في تجربة سريرية. سيكون لكل تجربة سريرية عدد تقديري من المشاركين في بداية الدراسة. تُستخدم مجموعة متنوعة من المصطلحات لوصف حالة التوظيف، مثل "لم يتم التوظيف بعد" [لم تبدأ الدراسة بعد في توظيف المشاركين]، "توظيف" [تقوم الدراسة حالياً بتوظيف المشاركين]، "التسجيل عن طريق الدعوة" [الدراسة تختار المشاركين فيها من مجموعة من الأشخاص، يقررها الباحثون مقدماً]، "نشطون"، "غير موظفين" [الدراسة جارية، والمشاركون يتلقون تدخلاً أو يخضعون للفحص، لكن المشاركين المحتملين لم يتم توظيفهم أو تسجيلهم بعد]، إلخ.

التسجيل: نظام يستخدم طرق الدراسة القائمة على الملاحظة لجمع البيانات حول العلاج والنتائج ورفاهية المشاركين المحددين بمرض أو حالة أو أعراض معينة.

نقطة نهاية ثانوية: في بروتوكول الدراسة السريرية، هي قياس (أو مقياس) للنتائج المخطط لها والتي ليست بنفس أهمية مقياس النتيجة الأولية لتقييم تأثير التدخل أو العلاج، ولكن لا تزال موضع اهتمام.

حدث سلبي خطير: يعتبر الحدث السلبي أو التفاعل الضار المشتبه به "خطيراً" إذا كان من وجهة نظر الباحث يؤدي إلى أي من النتائج التالية: الوفاة، أو تهديد للحياة، أو دخول المستشفى أو إطالة فترة الاستشفاء الحالية، أو عدم قدرة كبيرة على القدرة على القيام بوظائف الحياة الطبيعية، أو تشوه / عيب خلقي.

تجربة سريرية أحادية التعمية: تجربة سريرية لا يعرف فيها المشاركون في الدراسة الدواء أو العلاج الذي يتلقونه.

ممول: شخص أو شركة أو مؤسسة أو مجموعة أو منظمة تتحمل مسؤولية بدء وإدارة و / أو تمويل تجربة سريرية.

المعايرة: المعايرة عملية تعديل جرعة العلاج الطبي لتحقيق أقصى فائدة (فعالية) دون آثار ضارة.

التحمل: الدرجة التي يمكن للمشارك في الدراسة تحمل الآثار الجانبية للعلاج. وهي تختلف عن "سلامة" العلاج، والتي تشير إلى الخطر الطبي على الشخص الذي يتلقى مثل هذا العلاج.

الداعمين

يشكر الاتحاد العالمي للهيموفيليا الرعاية على دعمهم المالي السخي الذي سمح لنا بتطوير الموارد التعليمية للمرضى ومقدمي الرعاية الصحية على مستوى العالم.



World Federation of Hemophilia

1425 René-Lévesque Boulevard West, Suite 1200
Montréal, Québec H3G 1T7, CANADA

هاتف: (514) 875-7944

فاكس: (514) 875-8916

البريد الإلكتروني: wfh@wfh.org

www.wfh.org

