

Zusammenfassung der Studienergebnisse

HAVEN3: Eine Studie, in der untersucht wird, ob Emicizumab ▼ Blutungen bei Menschen mit Hämophilie A ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII im Alter von 12 Jahren und älter verhindern kann - und in der untersucht wird, ob es Nebenwirkungen bei der Einnahme von Emicizumab gibt

Den vollständigen, offiziellen Titel der Studie sowie den Glossar der medizinischen Begriffe finden Sie am Ende der Zusammenfassung.

Über diese Zusammenfassung

Dies ist eine Zusammenfassung der Ergebnisse einer **klinischen Prüfung** (nachfolgend in diesem Dokument "Studie" genannt), die für

- Mitglieder der Öffentlichkeit und
- Patienten* die an der Studie teilgenommen haben, erstellt wurde.

Die Studie hat im September 2016 begonnen und wird voraussichtlich im Mai 2022 abgeschlossen sein. Diese Zusammenfassung enthält die Ergebnisse, die im September 2017 ausgewertet wurden. Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung ist die Studie noch nicht abgeschlossen - die Studienärzte* sammeln noch immer Informationen.

Eine Studie kann uns nicht alles über die möglichen Nebenwirkungen und den umfassenden Nutzen eines Medikaments (bzw. Prüfpräparats) sagen. Es braucht viele Patienten in vielen Studien, um so viel wie möglich über ein Medikament zu lernen. Die Ergebnisse dieser Studie können sich von denen anderer Studien mit demselben Medikament unterscheiden.

Sie sollten also keine Entscheidungen aufgrund dieser Zusammenfassung treffen. Sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt, bevor Sie Entscheidungen über Ihre Behandlung treffen.

Inhalte dieser Zusammenfassung

1. Allgemeine Informationen zu dieser Studie
2. Wer waren die Studienteilnehmer?
3. Wie lief die Studie ab?
4. Welche Ergebnisse hatte die Studie zu diesem Zeitpunkt?
5. Welche Nebenwirkungen wurden beobachtet?
6. Wie hat diese Studie zur Forschung beigetragen?
7. Gibt es Pläne für weitere Studien?
8. Wo kann ich weitere Informationen erhalten?
9. Zusammenfassung als Infografik
10. Glossar

▼ Emicizumab unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Sicherheitsinformationen. Wenn Sie oder jemand, den Sie pflegen, während der Einnahme dieser Behandlung eine Nebenwirkung hat, sollten Sie dies sofort Ihrem Arzt* mitteilen.

* Alle Aussagen in diesem Dokument richten sich sowohl an männliche wie auch an weibliche Personen. Die verwendete männliche Schreibweise dient der besseren Lesbarkeit und stellt keinesfalls eine Diskriminierung nach dem Allgemeinen Gleichbehandlungsgesetz (AGG) dar.

Danke den Teilnehmern der Studie

Die Teilnehmer haben den Forschern geholfen, wichtige Fragen zu Hämophilie A und zur Behandlung mit dem Studienmedikament Emicizumab zu beantworten.

1. Allgemeine Informationen über diese Studie

Warum wird diese Studie durchgeführt?

Hämophilie A ist eine seltene **Erbkrankheit** des Blutes, die meist Männer betrifft - weniger als 1% der Menschen mit schwerer Hämophilie A sind weiblich. Menschen mit Hämophilie A haben wenig bis gar keine Aktivität eines bestimmten **Proteins** im Blut, welches als "Gerinnungsfaktor VIII" (auch "FVIII", „Faktor VIII“, oder „antihämophiles Globulin“ genannt) bezeichnet wird. Dies wird durch ein abnormales **Gen** verursacht. Ohne dieses aktive Protein kann das Blut nicht oder nur langsam gerinnen. Das bedeutet, dass Menschen mit Hämophilie A viele Blutungen haben können, die lange andauern können, besonders in den Gelenken und Muskeln. Diese Blutungen können durch kleine Verletzungen verursacht werden oder keine offensichtliche Ursache haben.

Die Standardbehandlung für Menschen mit Hämophilie A besteht darin, das inaktive Faktor-VIII-Protein durch "Ersatzfaktor VIII" zu ersetzen. Die Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhöht die Menge des aktiven Faktors VIII im Blut und verbessert so die Fähigkeit des Blutes, Blutgerinnsel zu bilden. Der Ersatzfaktor VIII wird als Injektion in eine Vene verabreicht (manchmal als **IV-Injektion** bezeichnet).

Ersatzfaktor VIII kann auch nach einer Blutung gegeben werden, um die Blutung zu stoppen. Dies wird als Behandlung bei Bedarf, „**präventive**“ Behandlung oder "on-demand" (englisch) bezeichnet.

Ersatzfaktor VIII kann auch regelmäßig verabreicht werden, um Blutungen zu verhindern. Die vorbeugende Behandlung wird auch als "**prophylaktische**" Behandlung bezeichnet.

Der Ersatzfaktor VIII verbleibt für einen kurzen, variablen Zeitraum im Blut, je nachdem, wie er vom Körper der jeweiligen Person abgebaut wird. Das bedeutet, dass der Ersatzfaktor VIII die Blutgerinnung nur für eine kurze Zeit verbessert. Aus diesem Grund muss der Ersatzfaktor VIII, wenn er zur Vorbeugung von Blutungen verabreicht wird, zweimal pro Woche oder öfter gegeben werden.

Es gibt viele verschiedene Arten der Behandlung mit Ersatzfaktor VIII, und verschiedene Menschen können unterschiedliche Dosen erhalten.

Einige Menschen mit Hämophilie A entwickeln **Hemmkörper** (auch Inhibitoren oder Hemmstoffe genannt) **gegen Faktor VIII**, die die Wirkung der Faktor-VIII-Ersatztherapie verhindern. In dieser Zusammenfassung geht es nur um Menschen mit Hämophilie A, die keine Hemmkörper gegen den Faktor VIII haben.

In dieser Studie wird untersucht, ob ein neues Medikament - Emicizumab - Blutungen verhindern kann und dazu beiträgt, die Belastung durch die Behandlung, wie z. B. häufige

Injektionen in eine Vene, zu verringern. In dieser Studie wird auch untersucht, ob es Nebenwirkungen bei der Einnahme von Emicizumab gibt.

Welches Studienmedikament gab es?

Das Medikament "Emicizumab" stand im Fokus der Studie.

- Emicizumab (bekannt unter dem Markennamen HEMLIBRA®) wird „em – me – sih – zuh – mab“ ausgesprochen.
- Emicizumab wirkt auf andere Proteine der Blutgerinnung, um die Funktion des fehlenden aktiven Faktor VIII wiederherzustellen.
- Dies verbessert die Fähigkeit, Gerinnsel im Blut zu bilden, und bedeutet, dass Blutungen bei Menschen mit Hämophilie A weniger wahrscheinlich sind.
- Die Behandlung mit Emicizumab ist vorbeugend (prophylaktisch). Das bedeutet, dass es regelmäßig verabreicht wird, um Blutungen zu verhindern.
- Emicizumab wird als Injektion unter die Haut verabreicht.

In dieser Studie wird die vorbeugende Behandlung mit Emicizumab verglichen mit:

- keiner vorbeugenden Behandlung, und
- präventiver (prophylaktischer) Faktor-VIII-Behandlung.

Was wollten die Forscher mit der Studie herausfinden?

Die Forscher führen diese Studie durch, um zu sehen, ob Emicizumab das Blutungsrisiko bei Menschen mit Hämophilie A im Vergleich zu einer nicht vorbeugenden Behandlung verringern kann (siehe Abschnitt 4).

Die Forscher führen diese Studie auch durch, um herauszufinden, ob Emicizumab das Blutungsrisiko bei Menschen mit Hämophilie A im Vergleich zu einer vorherigen prophylaktischen Behandlung mit Faktor VIII bei derselben Person verringern kann. Dazu hatten die Forscher in einer **vorherigen Studie** untersucht, wie oft Blutungen bei Menschen mit Hämophilie A vorkommen, wenn sie eine prophylaktische Behandlung mit Faktor VIII erhielten. In dieser Studie werden dieselben Teilnehmer dann auf die prophylaktische Emicizumab-Behandlung umgestellt - anstelle der prophylaktischen Faktor-VIII-Behandlung. Die Anzahl der Blutungen unter Emicizumab wird mit der Anzahl der Blutungen unter der prophylaktischen Faktor-VIII-Behandlung verglichen.

Die Forscher möchten auch herausfinden, wie sicher die Behandlung mit Emicizumab ist, wenn es einmal wöchentlich oder einmal alle zwei Wochen verabreicht wird - indem sie überprüfen, wie viele Teilnehmer während dieser Studie Nebenwirkungen haben, wenn sie Emicizumab einnehmen, und wie diese Nebenwirkungen aussehen (siehe Abschnitt 5).

Um welche Art von Studie handelt es sich?

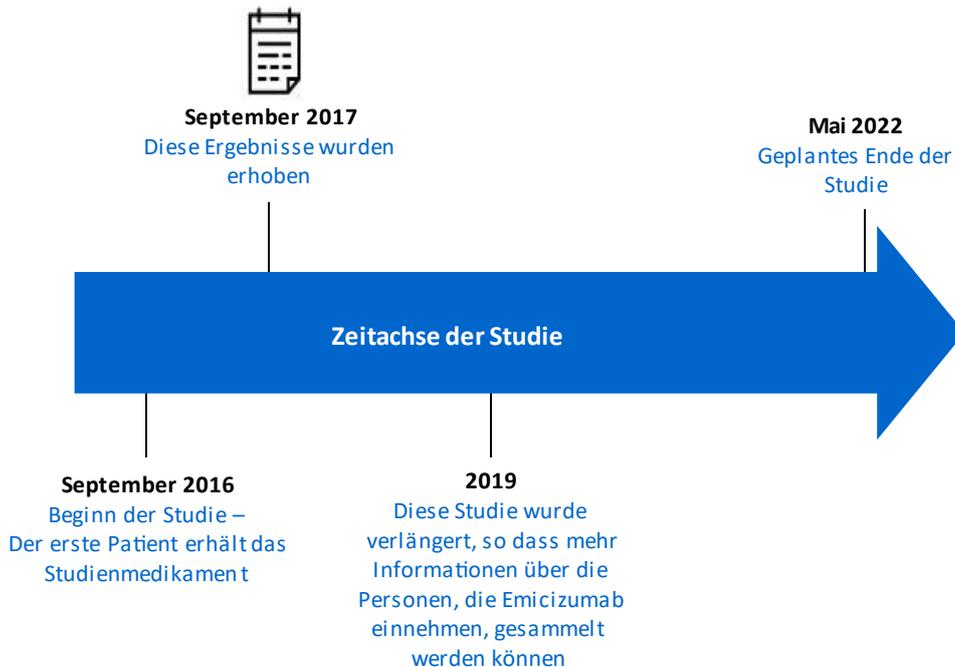
Phase-III-Studie: Emicizumab wurde zuvor in kleineren **Phase-I-** und **Phase-II-**Studien getestet. Dies ist eine größere "Phase III"-Studie, die zeigen soll, ob Emicizumab Blutungen verhindern kann und ob es irgendwelche Nebenwirkungen bei der Einnahme von Emicizumab gibt. Wenn sich ein neues Medikament in einer Phase-III-Studie als **wirksam** erweist und ein **günstiges Sicherheitsprofil** aufweist, können die Ergebnisse genutzt werden, um von den Zulassungsbehörden die Genehmigung zu erhalten, das Medikament für Menschen mit Hämophilie A verfügbar zu machen.

Randomisiert: Die Studie war „randomisiert“. Das bedeutet, dass von einem Computer nach dem Zufallsprinzip entschieden wurde, welcher Behandlungsgruppe die Patienten zugeteilt werden sollten. Durch die zufällige Zuordnung der Patienten zu den verschiedenen Behandlungsgruppen ist es wahrscheinlicher, dass die Merkmale der Patienten in beiden Gruppen (z. B. Alter, ethnische Herkunft, Krankheitszustand) zu Beginn der Studie ähnlich sind.

Offen: Es handelte sich um eine offene (unverblindete) (englisch: "Open Label") Studie. Das bedeutet, dass sowohl die an der Studie teilnehmenden Patienten als auch das Studienpersonal wussten, in welcher Behandlungsgruppe sich die Patienten befinden.

Wann und wo fand die Studie statt?

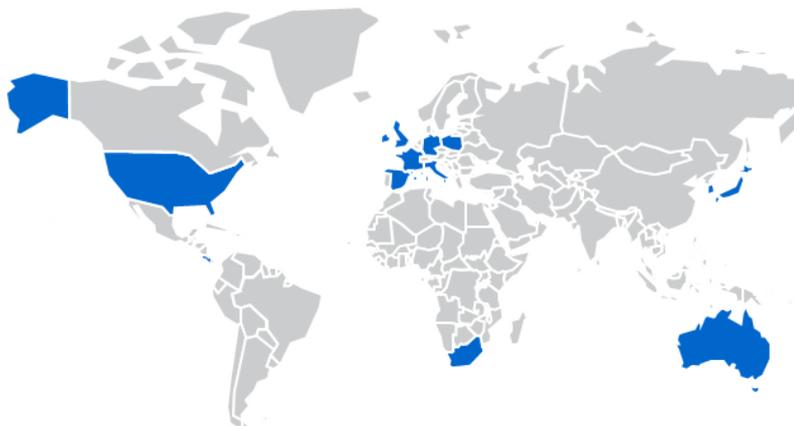
Die Studie hat im September 2016 begonnen und wird voraussichtlich im Mai 2022 abgeschlossen sein. Diese Zusammenfassung enthält die Ergebnisse, die im September 2017 ausgewertet wurden – ein Jahr nach Studienstart. Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung ist die Studie noch nicht abgeschlossen - die Studienärzte sammeln noch immer Informationen.



Das Symbol auf der Zeitachse (📅) zeigt an, wann die in dieser Zusammenfassung enthaltenen Informationen gesammelt wurden – September 2017.

Die Studie wurde weltweit in 39 Studienzentren in 14 Ländern/Regionen durchgeführt. Die folgende Karte zeigt die Länder, in denen diese Studie stattfand.

- Australien – 12 Menschen
- Costa Rica – 9 Menschen
- USA – 26 Menschen
- Frankreich – 9 Menschen
- Deutschland – 8 Menschen
- Irland – 4 Menschen
- Italien – 12 Menschen
- Japan – 19 Menschen
- Polen – 13 Menschen
- Südafrika – 10 Menschen
- Südkorea – 4 Menschen
- Spanien – 14 Menschen
- Taiwan – 5 Menschen
- Vereinigtes Königreich – 7 Menschen



2. Wer waren die Studienteilnehmer?

An dieser Studie nehmen 152 Menschen mit Hämophilie A teil. Sie sind alle 12 Jahre alt oder älter und alle männlich.

Menschen können an der Studie teilnehmen, wenn sie:

- eine schwere Hämophilie A ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII haben
- zu Beginn der Studie mindestens 40 Kilogramm wiegen.

Menschen konnten nicht an der Studie teilnehmen, wenn sie:

- andere Erkrankungen zusätzlich zu Hämophilie A hatten, die ihr Blutungsrisiko erhöht haben könnten.

3. Wie lief die Studie ab?

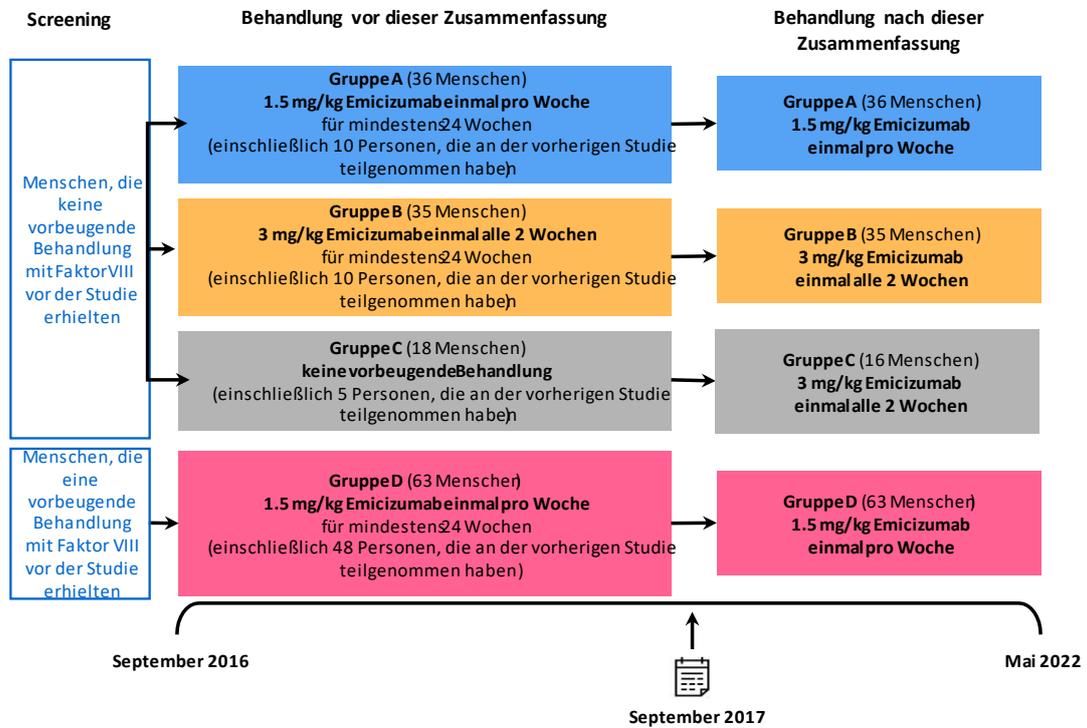
Teilnehmer, die vor Beginn dieser Studie keine prophylaktische Faktor-VIII-Behandlung einnahmen, wurden nach dem Zufallsprinzip (randomisiert) einer von drei Behandlungsgruppen zugeordnet - Gruppe A, Gruppe B oder Gruppe C. Teilnehmer, die vor Beginn dieser Studie eine prophylaktische Faktor-VIII-Behandlung einnahmen, wurden der Gruppe D zugeordnet.

Die Behandlungsgruppen sind:

- **Gruppe A:** um die Menge an Emicizumab in ihrem Blut schnell zu erhöhen, bekamen diese Teilnehmer zunächst vier Wochen lang einmal wöchentlich 3 mg/kg Emicizumab (d. h. drei Milligramm Emicizumab pro Kilogramm Körpergewicht). Diese Dosen werden als "**Initialdosen**" bezeichnet. Nach vier Wochen begannen sie mit der Einnahme von 1,5 mg/kg Emicizumab einmal wöchentlich über mindestens 24 Wochen. Diese Dosen werden als "**Erhaltungsdosen**" bezeichnet.
- **Gruppe B:** wie in Gruppe A erhielten diese Teilnehmer zunächst Initialdosen von 3 mg/kg Emicizumab einmal pro Woche für vier Wochen. Nach vier Wochen begannen sie mit der Einnahme von Erhaltungsdosen von 3 mg/kg Emicizumab einmal alle zwei Wochen für mindestens 24 Wochen.
- **Gruppe C:** diese Teilnehmer erhielten in den ersten 24 Wochen der Studie keine vorbeugende Behandlung. Nach 24 Wochen konnten die Teilnehmer in dieser Gruppe mit der Einnahme von Emicizumab beginnen. Wenn sie zu Emicizumab wechselten, begannen sie mit Initialdosen von 3 mg/kg Emicizumab einmal wöchentlich für vier Wochen. Nach vier Wochen begannen sie mit Erhaltungsdosen von 3 mg/kg Emicizumab einmal alle zwei Wochen für mindestens 24 Wochen, wie in Gruppe B.
- **Gruppe D** - diese Teilnehmer nahmen vor Beginn der Studie den Ersatzfaktor VIII ein. Die Teilnehmer in Gruppe D erhielten zunächst eine Initialdosis von 3 mg/kg Emicizumab einmal wöchentlich über vier Wochen. Nach vier Wochen erhielten sie eine Erhaltungsdosis von 1,5 mg/kg Emicizumab einmal wöchentlich für mindestens 24 Wochen.

Alle Teilnehmer konnten Ersatzfaktor VIII beim Auftreten einer Blutung erhalten.

Die nachfolgende Grafik stellt den Studienablauf dar:



Das Symbol auf der Grafik (📅) zeigt an, wann die in dieser Zusammenfassung enthaltenen Informationen gesammelt wurden – September 2017.

Die Teilnehmer der Gruppe C erhielten in den ersten 24 Wochen der Studie keine vorbeugende Behandlung, konnten aber nach 24 Wochen mit der Emicizumab-Behandlung beginnen. Zum Zeitpunkt der vorliegenden Ergebnisse hatten 16 der 18 Teilnehmer in Gruppe C mit der Einnahme von Emicizumab begonnen. Von den zwei Personen, die kein Emicizumab einnahmen, war eine nicht erreichbar und die andere wartete auf den Beginn der Behandlung mit Emicizumab.

Diese Studie ist noch nicht abgeschlossen. Wenn die Studie beendet ist, können die Teilnehmer an dieser Studie entweder weiterhin Emicizumab einnehmen oder zu einer anderen Behandlung wechseln, wenn sie dies wünschen.

4. Welche Ergebnisse hatte die Studie zu diesem Zeitpunkt?

Frage 1: Wie viele Blutungen hatten die Patienten, die Emicizumab einmal pro Woche oder einmal alle zwei Wochen erhielten, im Vergleich zu keiner vorbeugenden Behandlung?

Wenn eine Person während der Teilnahme an der Studie eine Blutung hat, kann sie die Blutung mit Ersatzfaktor VIII behandeln. Blutungen, die auf diese Weise behandelt werden, nennt man "**behandelte Blutungen**".

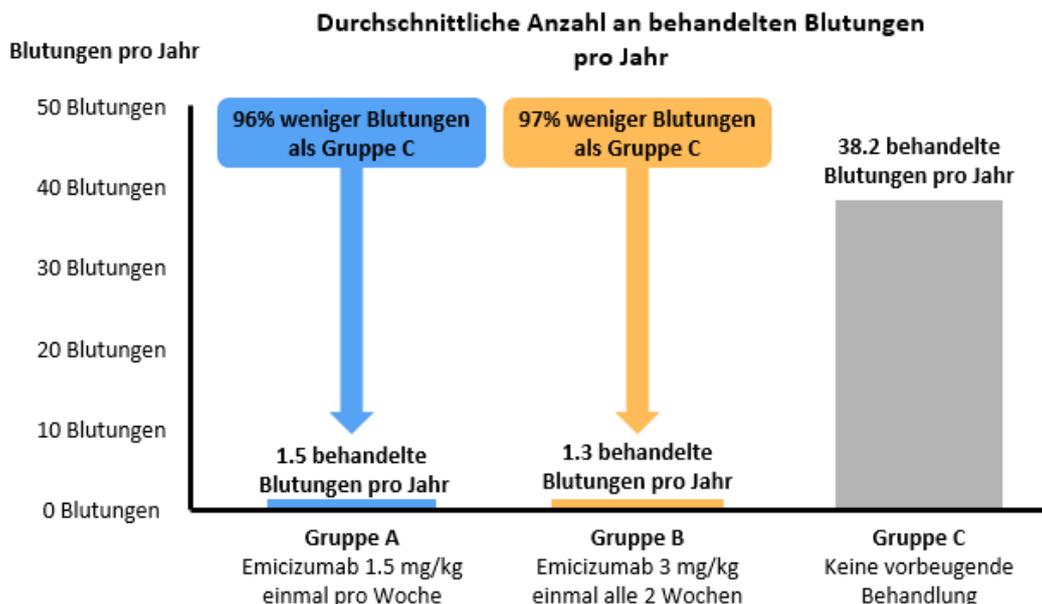
Die Forscher haben untersucht, wie viele behandelte Blutungen die Teilnehmer der Gruppe A und der Gruppe B im Laufe eines Jahres im Durchschnitt hatten, wenn sie Emicizumab als prophylaktische Behandlung einnahmen.

Dies wurde damit verglichen, wie viele behandelte Blutungen die Patienten der Gruppe C im Laufe eines Jahres im Durchschnitt hatten, wenn sie keine vorbeugende Behandlung erhielten (nur Behandlung bei Bedarf). Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Ergebnisse waren einige Studienteilnehmer noch nicht ein ganzes Jahr lang behandelt worden. Wenn dies der Fall war, ermittelten die Forscher für diese Analyse die Anzahl der behandelten Blutungen, die die Teilnehmer (während der Zeit, in der sie behandelt wurden) hatten. Anschließend schätzten die Forscher, wie viele behandelte Blutungen diese Person im Laufe eines Jahres potenziell haben könnte.

Die Teilnehmer in Gruppe C, die keine vorbeugende Behandlung erhielten, hatten im Durchschnitt 38,2 behandelte Blutungen pro Jahr. Alle Teilnehmer in Gruppe C hatten mindestens eine behandelte Blutung.

Teilnehmer in Gruppe A, die einmal pro Woche Emicizumab erhielten, hatten im Durchschnitt 1,5 behandelte Blutungen pro Jahr. Mehr als die Hälfte von ihnen (20 von 36 Teilnehmer, 56 %) hatten keine behandelten Blutungen.

Teilnehmer in Gruppe B, die Emicizumab einmal alle zwei Wochen erhielten, hatten im Durchschnitt 1,3 behandelte Blutungen pro Jahr. Nahezu zwei Drittel von ihnen (21 von 35 Teilnehmer, 60%) hatten keine behandelten Blutungen.

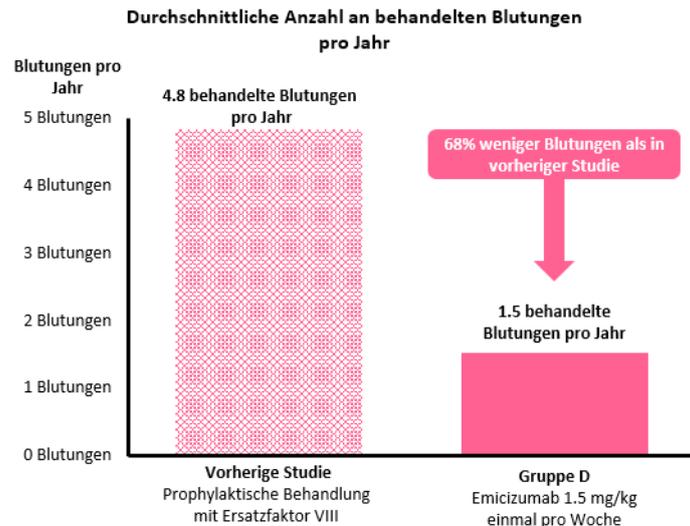


Frage 2: Wie viele Blutungen hatten die Teilnehmer in dieser Studie im Vergleich zu der Anzahl der Blutungen, die sie hatten, als sie in der vorherigen Studie eine prophylaktische Behandlung mit Faktor VIII erhielten?

Die Forscher haben auch untersucht, wie viele behandelte Blutungen die Teilnehmer hatten, die in dieser Studie Emicizumab einnahmen, verglichen mit wie viele behandelte Blutungen die gleichen Teilnehmer hatten, die in der vorherigen Studie eine prophylaktische Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhielten. Dazu wurden die 48 Teilnehmer aus Gruppe D betrachtet, die in der vorherigen Studie eine prophylaktische Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhielten.

Diese 48 Teilnehmer hatten im Durchschnitt 1,5 behandelte Blutungen pro Jahr, wenn sie Emicizumab in dieser Studie einnahmen, verglichen mit 4,8 behandelten Blutungen pro Jahr, wenn sie in der vorherigen Studie eine prophylaktische Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhielten.

Das bedeutet, dass sie 68 % weniger behandelte Blutungen hatten, wenn sie Emicizumab einnahmen, als wenn sie eine prophylaktische Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhielten.



In der vorherigen Studie hatten 40 % der Patienten (19 von 48), die eine prophylaktische Behandlung mit Ersatzfaktor VIII erhielten, keine behandelten Blutungen. Nach der Umstellung auf Emicizumab hatten 54 % der Teilnehmer (26 von 48) keine behandelten Blutungen.

Dieser Abschnitt zeigt nur die wichtigsten Ergebnisse der Studie (bis September 2017). Informationen zu allen anderen Ergebnissen finden Sie auf den Websites am Ende dieser Zusammenfassung (siehe Abschnitt 8).

5. Welche Nebenwirkungen wurden beobachtet?

Frage 3: Wie viele Teilnehmer hatten Nebenwirkungen?

Nebenwirkungen (auch "unerwünschte Reaktionen" genannt) sind unerwünschte medizinische Probleme (wie z. B. Schwindelgefühl), die während der Studie auftreten.

- Sie werden in dieser Zusammenfassung beschrieben, weil die Studienärzte glauben, dass die beschriebenen Nebenwirkungen mit der Emicizumab-Behandlung zusammenhängen.
- Nicht alle Teilnehmer dieser Studie haben Nebenwirkungen. Des Weiteren haben die Teilnehmer, die Nebenwirkungen haben, nicht alle der unten aufgeführten Nebenwirkungen.
- Nebenwirkungen können von leicht bis schwerwiegend ausfallen und von Person zu Person unterschiedlich sein.
- Es ist wichtig zu beachten, dass die hier berichteten Nebenwirkungen aus dieser einzelnen Studie stammen. Daher können sich die hier gezeigten Nebenwirkungen von denen unterscheiden, die in anderen Studien beobachtet wurden, oder von denen, die in der Packungsbeilage des Arzneimittels angegeben sind. In den folgenden Abschnitten sind die Nebenwirkungen aufgeführt, die nach Ansicht der Studienärzte mit der Behandlung mit Emicizumab in Zusammenhang stehen. Nebenwirkungen, die nicht mit der Behandlung mit Emicizumab in Verbindung gebracht wurden, sind in dieser Zusammenfassung nicht aufgeführt.

In Gruppe C sind in diesem Abschnitt nur Teilnehmer aufgeführt, die nach mindestens 24 Wochen Studienteilnahme die Behandlung auf Emicizumab umgestellt haben. Die Teilnehmer in Gruppe C erhielten in den ersten 24 Wochen der Studie keine vorbeugende Behandlung, konnten aber nach 24 Wochen wählen, ob sie eine Behandlung mit Emicizumab beginnen wollten.

Schwerwiegende Nebenwirkungen

Eine Nebenwirkung wird als "**schwerwiegend**" eingestuft, wenn sie lebensbedrohlich ist, eine Behandlung im Krankenhaus erfordert, dauerhafte Probleme verursacht oder zum Tod führt.

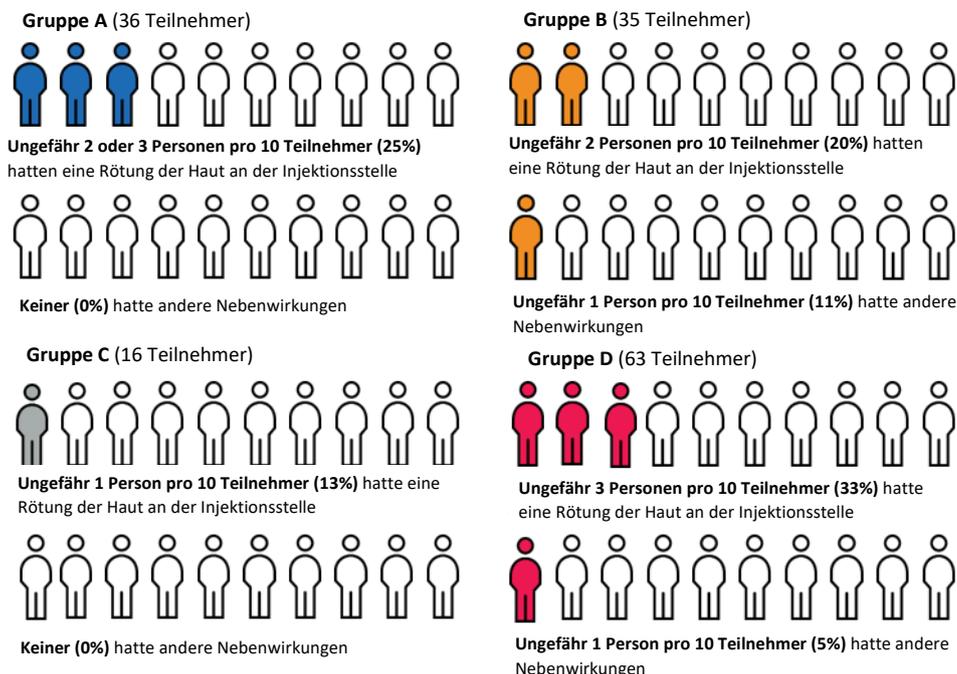
Während dieser Studie hatte niemand eine schwerwiegende Nebenwirkung im Zusammenhang mit der Emicizumab-Behandlung.

Die häufigsten Nebenwirkungen

Während dieser Studie hatte etwa einer von drei Teilnehmern (33 %) eine Nebenwirkung im Zusammenhang mit der Emicizumab-Behandlung, die nicht als schwerwiegend eingestuft wurde. Die einzige Nebenwirkung im Zusammenhang mit Emicizumab, die als "häufig" eingestuft wurde, d. h. bei mehr als 5 % der Teilnehmer (1 von 20) in allen Behandlungsgruppen auftrat, war eine Rötung der Haut an der Injektionsstelle - auch "Reaktion an der Injektionsstelle" genannt.

Es gab auch andere Nebenwirkungen, die während dieser Studie auftraten, wie z. B. Husten oder Erkältungen, aber die Studienärzte glaubten nicht, dass sie mit der Emicizumab-Behandlung zusammenhängen.

Wie viele Teilnehmer hatten Nebenwirkungen, die mit der Emicizumab-Behandlung im Zusammenhang standen?



Eine Person in Gruppe B (1 von 35 Teilnehmern, 3 %) entschied sich, die Einnahme von Emicizumab aufgrund mehrerer leichter Nebenwirkungen, die nicht als schwerwiegend angesehen wurden, abzubrechen. Der behandelnde Arzt dieser Person glaubt, dass diese Nebenwirkungen mit der Behandlung mit Emicizumab zusammenhängen.

Andere Nebenwirkungen

Keiner der Teilnehmer in der Studie entwickelte neue Hemmkörper gegen Faktor VIII.

Informationen über andere, weniger häufige Nebenwirkungen (die in den obigen Abschnitten nicht aufgeführt sind) finden Sie auf den am Ende dieser Zusammenfassung aufgeführten Websites (siehe Abschnitt 8).

6. Wie hat diese Studie zur Forschung beigetragen?

Die hier vorgestellten Informationen stammen aus einer einzigen Studie mit 152 Patienten mit Hämophilie A ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII, die 12 Jahre oder älter sind. Die Ergebnisse helfen den Ärzten, mehr über die Wirkung von Emicizumab bei Menschen mit Hämophilie A ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII zu erfahren.

Vorherige Studien haben gezeigt, dass Emicizumab Blutungen bei Menschen aller Altersgruppen, die Hämophilie A mit Hemmkörper gegen Faktor VIII haben, verhindern kann, wenn es einmal wöchentlich eingenommen wird.

Die Ergebnisse dieser Studie zeigen, dass Emicizumab bei Menschen mit Hämophilie A ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII – wenn einmal wöchentlich oder einmal alle zwei Wochen verabreicht – Blutungen besser verhinderte im Vergleich zu keiner vorbeugenden (präventiven) Behandlung und einer präventiven (prophylaktischen) Behandlung mit Faktor VIII. Die Ergebnisse zeigen auch, dass Emicizumab keine schwerwiegenden Nebenwirkungen verursachte.

Eine Studie kann uns nicht alles über die möglichen Nebenwirkungen und den umfassenden Nutzen eines Medikaments (bzw. Prüfpräparats) sagen. Es braucht viele Patienten in vielen Studien, um so viel wie möglich über ein Medikament zu lernen.

- Sie sollten also keine Entscheidungen aufgrund dieser einen Zusammenfassung treffen. Sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt, bevor Sie Entscheidungen über Ihre Behandlung treffen.

7. Gibt es Pläne für weitere Studien?

Weitere Studien, die die Behandlung mit Emicizumab untersuchen, finden aktuell statt, und weitere Studien sind geplant.

Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung ist die Studie noch nicht abgeschlossen - die Studienärzte sammeln noch immer Informationen.

8. Wo kann ich weitere Informationen finden?

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auf den unten aufgeführten Websites:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02847637> (in Englisch)
- <https://klinische-studien-fuer-patienten.de/de/trials/Hemophilia/a-clinical-trial-to-evaluate-prophylactic-emicizumab-ve-59481.html>

Wenn Sie mehr über die Ergebnisse dieser Studie erfahren möchten, lautet der vollständige Titel der wissenschaftlichen englischsprachigen Arbeit, die diese Studie beschreibt: 'Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A Without Inhibitors'. Die Autoren der wissenschaftlichen Arbeit sind: J. Mahlangu, J. Oldenburg, I. Paz-Priel, C. Négrier, M. Niggli und weitere. Die Arbeit ist in der Fachzeitschrift 'The New England Journal of Medicine', Band Nummer 379, auf den Seiten 811–822 veröffentlicht.

An wen kann ich mich wenden, wenn ich Fragen zu dieser Studie habe?

Falls Sie nach dem Lesen dieser Zusammenfassung weitere Fragen haben:

Besuchen Sie die Plattform „Klinische Studien für Patienten“ und füllen Sie das Kontaktformular aus:

- <https://klinische-studien-fuer-patienten.de/de/trials/Hemophilia/a-clinical-trial-to-evaluate-prophylactic-emicizumab-ve-59481.html>
- Kontaktieren Sie einen Vertreter Ihrer lokal zuständigen Roche-Niederlassung.

Wenn Sie an dieser Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen haben:

- Sprechen Sie mit dem Studienarzt oder mit dem Personal des Studienzentrums/der Klinik.

Wenn Sie Fragen zu Ihrer eigenen Behandlung haben:

- Sprechen Sie mit dem Arzt, der für Ihre Behandlung zuständig ist.

Wer hat diese Studie organisiert und bezahlt?

Diese Studie wurde von der F. Hoffmann-La Roche Ltd mit Hauptsitz in Basel, Schweiz, und von Chugai Pharmaceutical Co., Ltd, mit Hauptsitz in Tokio, Japan organisiert und finanziert.

Vollständiger Titel der Studie und andere Informationen zur Identifizierung:

Der vollständige Titel dieser Studie lautet: 'A Clinical Trial to Evaluate Prophylactic Emicizumab Versus no Prophylaxis in Hemophilia A Participants Without Inhibitors (HAVEN 3)'.

Diese Studie wird auch 'HAVEN 3' genannt.

- Die Protokollnummer für diese Studie ist: BH30071.
- ClinicalTrials.gov-Identifikationsnummer dieser Studie ist: NCT02847637.
- Die EudraCT-Identifikationsnummer für diese Studie ist: 2016-004366-25.

9. Zusammenfassung als Infografik



HAVEN3: Eine Studie, in der untersucht wird, ob Emicizumab ▼ Blutungen bei Menschen mit Hämophilie A ohne Inhibitoren gegen Faktor VIII im Alter von 12 Jahren und älter verhindern kann - und in der untersucht wird, ob es Nebenwirkungen bei der Einnahme von Emicizumab gibt



Dies ist eine Zusammenfassung der Ergebnisse einer klinischen Prüfung (nachfolgend in diesem Dokument "Studie" genannt), die für Mitglieder der Öffentlichkeit und Patienten* die an der Studie teilgenommen haben, erstellt wurde.

Hier berichten wir über die Ergebnisse der primären Analyse dieser Studie bis September 2017 - die Studie läuft weiter, um Langzeitdaten zu sammeln.

Warum wird diese Studie durchgeführt?

Hämophilie A ist eine seltene vererbte Bluterkrankheit. Menschen mit Hämophilie A haben wenig bis gar keine Aktivität eines Proteins namens „Faktor VIII“. Ohne dieses aktive Protein kann das Blut nicht richtig gerinnen, was bedeutet, dass Menschen mit Hämophilie A viele Blutungen haben.

Ein Medikament namens **Emicizumab** steht im Mittelpunkt dieser Studie. Die Forscher führen diese Studie durch, um herauszufinden, ob Emicizumab bei regelmäßiger Verabreichung Blutungen bei Menschen mit Hämophilie A verhindern kann, und um zu untersuchen, ob es irgendwelche Nebenwirkungen bei der Einnahme von Emicizumab gibt. Nebenwirkungen sind unerwünschte medizinische Probleme, die während einer Behandlung auftreten können.

Wer waren die Studienteilnehmer?

Die Studie findet statt in:

39 Zentren **14** Ländern der Welt

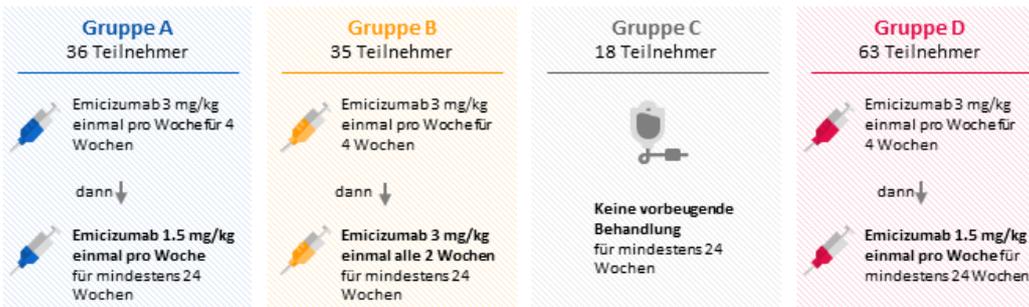
152

Menschen mit Hämophilie A nehmen teil.

Alle sind 12 Jahre oder älter, und alle sind männlich.

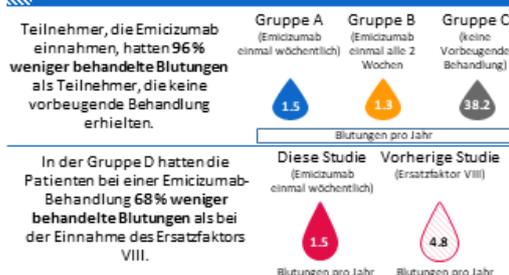
Wie läuft die Studie ab?

Personen, die vor Beginn dieser Studie keine vorbeugende Behandlung einnahmen, wurden nach dem Zufallsprinzip in eine von drei Behandlungsgruppen eingeteilt: A, B oder C. Personen, die vor Beginn dieser Studie eine präventive Behandlung namens "Ersatzfaktor VIII" einnahmen, wurden der Gruppe D zugeteilt.



- Um zu sehen, ob Emicizumab Blutungen verhindert, verglichen die Studienärzte die Anzahl der Blutungen in den Gruppen A und B mit der Anzahl der Blutungen in Gruppe C.
- Nach 24 Wochen begannen 16 Personen in Gruppe C mit der Einnahme von Emicizumab (gleiche Dosierung wie in Gruppe B).
- Die Ärzte wollten auch sehen, ob Emicizumab besser dazu in der Lage ist, Blutungen zu verhindern als Ersatzfaktor VIII, indem sie die Anzahl der Blutungen, die die Personen in Gruppe D hatten, mit der Anzahl der Blutungen verglichen, die dieselben Personen hatten, als sie zuvor eine vorbeugende Behandlung mit Faktor VIII erhielten.

Was ergaben die Ergebnisse der Datenanalyse bisher?



Welche Nebenwirkungen wurden in dieser Studie bisher berichtet?

Die hier aufgeführten Nebenwirkungen sind diejenigen, von denen die Studienärzte glaubten, dass sie mit der Studienbehandlung - Emicizumab - zusammenhängen könnten. Es gab auch andere Nebenwirkungen, wie z. B. Husten oder Erkältungen, von denen die Studienärzte jedoch nicht glaubten, dass sie mit der Emicizumab-Behandlung zusammenhängen.



Eine von drei Personen (33%) hatte eine Nebenwirkung im Zusammenhang mit der Emicizumab-Behandlung

Die einzige Nebenwirkung aufgrund der Studienbehandlung, die als "häufig" angesehen wurde, d. h. bei mehr als 5% der Personen (1 von 20) auftrat, war eine Rötung der Haut an der Injektionsstelle.

Die anderen Nebenwirkungen im Zusammenhang mit der Studienbehandlung, die bei mehr als einer Person auftraten, waren Kopfschmerzen (vier Personen) und Übelkeit (zwei Personen).

Wie hat diese Studie zur Forschung beigetragen?

Diese Ergebnisse zeigen, dass Emicizumab, wenn einmal wöchentlich oder einmal alle zwei Wochen verabreicht, im Vergleich zu keiner vorbeugenden Behandlung oder einer vorbeugenden mit Ersatzfaktor VIII bei Menschen mit Hämophilie A Blutungen besser verhinderte - und keine schwerwiegenden Nebenwirkungen verursachte.

Die Studie ist unter dem Namen "HAVEN 3" bekannt (NCT02847637) und wurde von der F. Hoffmann La Roche Ltd und der Chugai Pharmaceutical Co., Ltd organisiert und finanziert. M XX 00003199 Datum der Vorbereitung: März 2021.

▼ Emicizumab unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Sicherheitsinformationen. Wenn Sie oder jemand, den Sie pflegen, während der Einnahme dieser Behandlung eine Nebenwirkung hat, sollten Sie dies sofort Ihrem Arzt mitteilen.

10. Glossar

Klinische Studie	Wenn Forscher einer Gruppe von Menschen ein Medikament geben, um mehr darüber herauszufinden, wie das Medikament wirkt, ob es hilft, den Zustand der Menschen zu verbessern, und ob es irgendwelche Nebenwirkungen verursacht. Die Forscher führen regelmäßig Nachuntersuchungen mit den Menschen durch, die das Medikament einnehmen, und führen medizinische Tests durch.
DNA	Die DNA ist der Code, der die Bausteine aller bekannten lebenden Organismen bildet, von Bakterien bis zum Menschen. Die DNA in unserem Körper trägt die Anweisungen, um uns zu bauen, und ist das Material, aus dem unsere Gene bestehen.
Gene	Gene sind DNA-Einheiten, die wir von unseren Eltern geerbt haben und die alle Informationen enthalten, die Menschen zu dem machen, was sie sind - von der Augenfarbe bis zur Blutgruppe.
Vererbt	Bedeutet, dass bestimmte Gene von einer Generation an die nächste weitergegeben werden.
Hemmkörper (Hemmstoffe) gegen Faktor VIII	Antikörper, die als Reaktion des körpereigenen Immunsystems auf die Behandlung mit Ersatzfaktor VIII produziert werden. Hemmkörper gegen Faktor VIII können die Wirkung der Behandlung mit dem Ersatzfaktor VIII zur Verhinderung von Blutungen verhindern. Hemmkörper gegen Faktor VIII entwickeln sich oft schon in jungen Jahren, wenn Kinder zum ersten Mal mit Ersatzfaktor VIII behandelt werden.
Reaktion an der Injektionsstelle	Rötung, Schmerzen oder Schwellung der Haut an der Stelle, an der eine Injektion gegeben wurde.
IV Injektion	Intravenöse Injektion. Eine Injektion in eine Vene.
Initialdosis	Auch Aufsättigungsdosis (engl. loading dose) genannt. Eine anfänglich höhere Dosis eines Medikaments, die zu Beginn einer Behandlung gegeben werden kann, um die Konzentration des Medikaments im Blut schnell zu erhöhen, bevor auf eine niedrigere Erhaltungsdosis desselben Medikaments zurückgegangen wird.
Erhaltungsdosis	Die Menge des Medikaments, die verabreicht wird, um die Menge des Medikaments im Blut aufrechtzuerhalten, der einen akzeptablen Schutz vor Blutungen bietet.
Behandlung bei Bedarf	Behandlung, die nach einer Blutung gegeben wird, um die Blutung zu stoppen.

Offen ("Open-label")	Eine klinische Studie, bei der sowohl die Forscher als auch die Studienteilnehmer wissen, welches der Studienmedikamente die Teilnehmer einnehmen.
Phase-1-Studie	Eine der ersten klinischen Studien zur Erforschung eines neuen Medikaments. Die Studienärzte geben einer kleinen Anzahl von Menschen das neue Medikament, um zu sehen, wie es auf sie wirkt und um mehr über das Medikament herauszufinden.
Phase-2-Studie	Eine klinische Studie, in der untersucht wird, wie wirksam ein neues Medikament bei Menschen mit der untersuchten Erkrankung ist, und in der die möglichen Nebenwirkungen des neuen Medikaments untersucht werden. An Phase-2-Studien nehmen mehr Menschen teil und sie dauern normalerweise länger als Phase-1-Studien.
Phase-3-Studie	Eine klinische Studie zur weiteren Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit des neuen Medikaments, an der in der Regel mehr Menschen teilnehmen als an den Studien der Phasen 1 und 2. Phase-3-Studien können auch ein neues Medikament mit einer bestehenden Behandlungsmöglichkeit vergleichen, um zu zeigen, welches Medikament besser wirkt (das neue oder das alte), welche Nebenwirkungen das neue Medikament hat und wie sich die neue Behandlung auf die Lebensqualität der Menschen auswirkt.
Prophylaktische Behandlung	Regelmäßig verabreichte Behandlung, um Blutungen und nachfolgende Gelenk- und Muskelschäden zu verhindern.
Protein	Eine lange Kette von kleineren Bausteinen in unserem Körper, die Aminosäuren genannt werden. Sie sind in einfachen und komplexen Strukturen organisiert und bilden fast alles in einem lebenden Organismus, von Haaren und Haut bis zu Enzymen und Antikörpern. Die Information, wie man Proteine aufbaut, befindet sich in den Genen.
Randomisiert	Eine Studie, bei der Menschen nach dem Zufallsprinzip in Gruppen aufgeteilt werden. Dies wird normalerweise von einem Computer durchgeführt. Normalerweise erhält jede Gruppe eine andere Art der Behandlung.
Sicherheitsprofil	Ein Überblick über die Eigenschaften des Medikaments, einschließlich seiner Funktionsweise, seiner Wirkung und eventueller Nebenwirkungen.
Schwerwiegende Nebenwirkung	Eine Nebenwirkung, die lebensbedrohlich ist, eine Krankenhausbehandlung erfordert, dauerhafte Probleme verursacht oder zum Tod führt.

Nebenwirkung	Eine unerwünschte medizinische Wirkung, die durch die Einnahme eines Medikaments verursacht wird. Nebenwirkungen können positiv oder negativ sein.
Behandelte Blutung	Eine Blutung, die mit Ersatzfaktor VIII behandelt wird.
Behandlungslast	Die Maßnahmen, die Menschen mit einer chronischen (Langzeit-)Erkrankung ergreifen müssen, um ihren Zustand tagtäglich zu behandeln, einschließlich der Auswirkungen, die diese Maßnahmen auf ihr Wohlbefinden, ihre Beziehungen und ihre Lebensqualität haben.
