

임상시험 결과 – 비전문가용 요약

제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는 A 형 혈우병을 가진 12 세 이상의 사람들에서 에미시주맙▼이 출혈을 예방할 수 있는지와 에미시주맙 투여에 따른 부작용이 있는지를 알아 보는 시험

시험의 전체 제목과 의학 용어집은 요약의 끝 부분을 참조하십시오.

이 요약에 대하여

이는 다음 사람들을 위해 작성된 **임상시험**(이 문서에서 ‘시험’이라 칭함)의 결과 요약입니다:

- 일반인, 그리고
- 시험에 참여했던 사람들.

이 시험은 2016 년 9 월에 시작하였으며 2022 년 5 월에 종료될 예정입니다. 이 요약에는 2017년 9 월에 수집하여 분석한 결과가 포함되어 있습니다. 이 요약 작성 시점에, 시험은 여전히 진행 중입니다 – 의사들이 여전히 정보를 수집하고 있습니다.

약물의 위험성과 유익성에 대한 모든 것을 확인할 수 있는 단일 시험은 없습니다. 우리가 알아야 할 것을 찾아내기 위해서는 여러 시험에 참여하는 많은 사람들이 필요합니다. 이 시험에서 나온 결과는 동일한 약의 다른 시험에서 나온 결과와 다를 수 있습니다.

- 이 하나의 요약을 근거로 판단을 내리서는 안됩니다 – 귀하의 치료에 대한 결정을 내리기 전에 항상 담당의사와 상의하십시오.

이 요약의 내용

1. 이 시험에 대한 일반적인 정보
2. 누가 이 시험에 참여하고 있나요?
3. 이 시험 동안 무슨 일이 일어나나요?
4. 이 시험의 결과는 무엇인가요?
5. 부작용은 무엇인가요?
6. 이 시험이 어떻게 연구에 도움이 되나요?
7. 다른 시험에 대한 계획이 있나요?
8. 추가 정보는 어디서 확인할 수 있나요?
9. 시각적 정보 요약
10. 용어집

이 시험에 참여하고 있는 분들께 감사 드립니다.

이 시험에 참여하고 있는 사람들은 의사들이 A 형 혈우병과 시험약인 에미시주맙에 대한 중요한 의문을 해결하는 데 도움을 주고 있습니다.

▼ 에미시주맙은 추가 모니터링 대상입니다. 이는 새로운 안전성 정보에 대한 신속한 확인을 가능하게 할 것입니다. 만약, 귀하 또는 귀하가 돌보는 누군가에게 이 치료를 받는 동안 부작용이 생긴다면, 즉시 귀하의/그 사람의 담당의사에게 말해야 합니다.

1. 이 시험에 대한 일반적인 정보

왜 이 시험이 이루어지고 있나요?

A 형 혈우병은 대부분 남성에게 나타나는 - 중증 A 형 혈우병 환자의 1% 미만이 여성 - 희귀한 **유전되는** 혈액 이상입니다. A 형 혈우병이 있는 사람은 ‘제 8 응고 인자’ (‘FVIII’라고도 함)라고 불리는 혈액 내 **단백질**의 활성이 희박하거나 없습니다. 이는 비정상적 **유전자**에 의해 생깁니다. 이 활성 단백질이 없으면, 혈액이 정상적으로 응고될 수 없습니다. 이는 A 형 혈우병 환자에서 특히 관절이나 근육에서 오랜 시간 동안 지속될 수 있는 출혈이 많이 발생할 수 있음을 의미합니다. 이러한 출혈은 경미한 상해에 의해 발생할 수 있거나 명확한 원인이 없는 경우도 있습니다.

A 형 혈우병 환자에 대한 표준 요법은 비활성의 제 8 응고인자 단백질을 ‘대체 제 8 응고인자’로 교체하는 것입니다. 제 8 응고인자 대체 요법은 혈액에서 활성 제 8 응고인자의 양을 증가시켜 혈액이 응고되는 능력을 향상시킵니다. 대체 제 8 응고인자는 정맥을 통해 주사합니다 (때로 **IV(정맥) 주사**라고 불림).

출혈이 발생한 후 출혈을 멈추기 위해 대체 제 8 응고인자를 투여할 수 있습니다. 이는 **‘필요시’** 치료라고 불립니다.

대체 제 8 응고인자는 또한 출혈을 예방하기 위해 정기적으로 투여할 수도 있습니다. 방지적 치료는 **‘예방’** 치료라고도 불립니다.

대체 제 8 응고인자는 각 개인의 신체에서 어떻게 처리되는지에 따라 짧고 가변적인 시간 동안 혈액에 남아 있습니다. 이는 대체 제 8 응고인자가 짧은 시간 동안 혈액 응고를 향상시킬 뿐이라는 것을 의미합니다. 이 때문에, 출혈을 예방하기 위해서는 대체 제 8 응고인자를 투여할 때는 주 2 회 또는 더 자주 투여해야 합니다.

많은 다양한 유형의 제 8 응고인자 대체 요법이 있으며, 사람에 따라 다른 용량을 투여 받을 수 있습니다.

A 형 혈우병이 있는 일부 사람들은 **제 8 응고인자에 대한 억제인자**를 가지고 있는데, 이는 제 8 응고인자 대체요법이 제 역할을 하지 못하게 합니다. 이 요약에서는 **제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는** A 형 혈우병을 가진 사람들에 대해서만 논의하고 있습니다.

이 시험은 신약인 에미시주맙이 출혈을 예방하고, 잦은 정맥 주사와 같은 **치료 부담**을 줄일 수 있는지를 알아 보기 위해 이루어지고 있습니다. 이 시험에서는 또한 에미시주맙 투여에 따른 부작용이 있는지를 살펴보고 있습니다.

시험약은 무엇인가요?

이 시험에서 주목해야 할 것은 ‘에미시주맙’(HEMLIBRA[®], 헴리브라[®])이라 불리는 약입니다.

- 이 약을 ‘에-미-시-주-맙’으로 부르면 됩니다.
- 에미시주맙은 소실되어 있는 활성 제 8 응고인자의 기능을 복원하기 위해 혈액에 있는 혈액응고인자 단백질 (제 8 응고인자 외)에 작용함으로써 기능을 합니다.

- 이는 혈액이 혈전을 만드는 능력을 향상시켜 A 형 혈우병이 있는 사람에서 출혈 가능성이 적어진다는 것을 의미합니다.
- 에미시주맙은 방지 (예방) 요법입니다. 이는 출혈을 예방하기 위해 정기적으로 투여된다는 것을 의미합니다.
- 에미시주맙은 피부 아래에 주사로 투여됩니다.

이 시험에서는, 에미시주맙 방지 (예방) 요법을 다음 요법과 비교하고 있습니다:

- 비예방 요법, 그리고
- 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법.

의사들은 무엇을 알고 싶어 하나요?

의사들은 비예방 요법과 비교했을 때 에미시주맙이 A 형 혈우병이 있는 사람에서 출혈 위험을 줄일 수 있는지를 확인하고자 이 시험을 진행하고 있습니다 (4 항 “이 시험의 결과는 무엇인가요?” 참조).

의사들은 또한 에미시주맙이 동일한 A 형 혈우병이 있는 사람에게서 에미시주맙이 이전 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법에 비해 출혈 위험을 감소시킬 수 있는지를 확인하고자 이 시험을 하고 있습니다. 이를 하기 위해서, 의사들은 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받는 A 형 혈우병이 있는 사람을 관찰하고 그들의 출혈 횟수를 기록했던 **이전 시험**을 진행했습니다. 본 시험에서는 이들 동일인들에 대해 제 8 응고인자 예방 요법 대신 에미시주맙 방지 (예방) 요법으로 전환하였습니다. 에미시주맙을 투여 받고 있을 때 사람들의 출혈 횟수를 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있을 때의 출혈 횟수와 비교합니다.

의사들은 또한 이 시험 동안 에미시주맙을 투여했을 때 얼마나 많은 사람들에게 부작용이 나타났는지와 이러한 부작용에는 어떤 것이 있는지를 확인함으로써 에미시주맙을 매주 1 회 또는 2 주마다 1 회 투여했을 때 얼마나 안전한지를 알아보고자 합니다 (5 항 “부작용은 무엇인가요?” 참조).

이는 어떤 종류의 시험인가요?

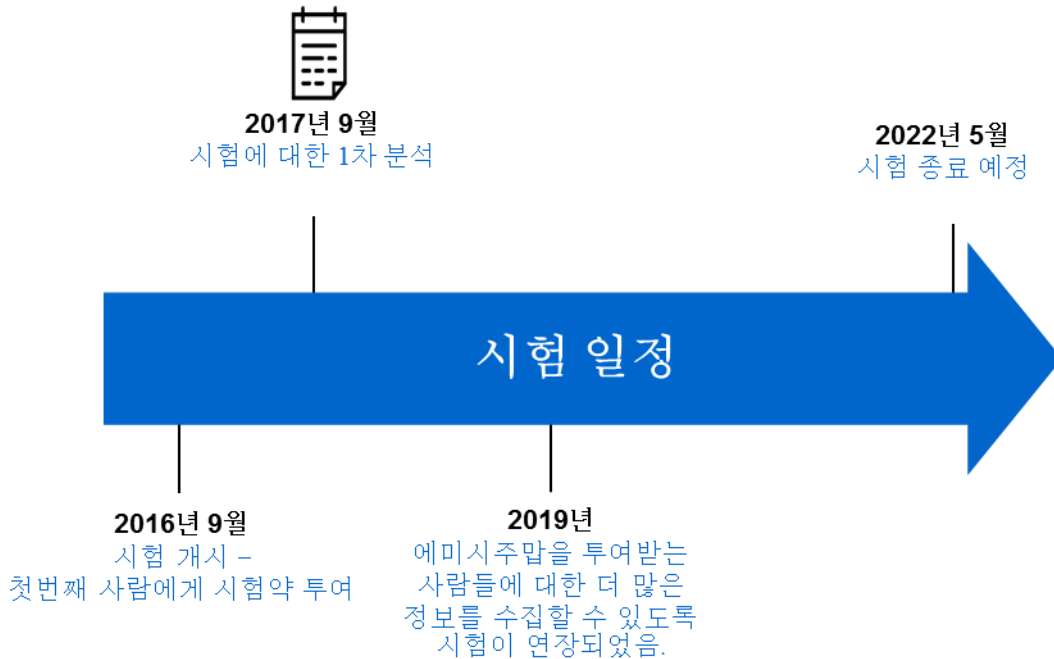
에미시주맙은 보다 작은 **1 상** 및 **2 상** 시험에서 이미 연구되었습니다. 이 시험은 에미시주맙이 출혈을 예방할 수 있는지와 에미시주맙 투여 시 부작용이 있는지를 확인하기 위한 보다 큰 **‘3 상’** 시험입니다. 만약 3 상 시험에서 신약이 **효과적이고 유리한 안전성 프로파일**을 가진 것으로 나타나면, 그 결과는 A 형 혈우병이 있는 사람이 이 약을 사용할 수 있도록 규제당국으로부터 승인을 받는 데 사용될 수 있습니다.

이 시험은 **‘무작위 배정’** 시험입니다. 이는 어떤 사람이 에미시주맙 또는 비예방 요법을 받을 지가 주사위 던지기처럼 확률로 결정된다는 것을 의미합니다.

이 시험은 **“공개”** 시험입니다. 이는 담당의사와 시험에 참여하고 있는 사람 모두 어떻게 치료 받고 있는지 - 에미시주맙을 투여 받는지 또는 비예방 요법을 받는지 - 를 안다는 것을 의미합니다.

언제 어디서 이 시험이 이루어지고 있나요?

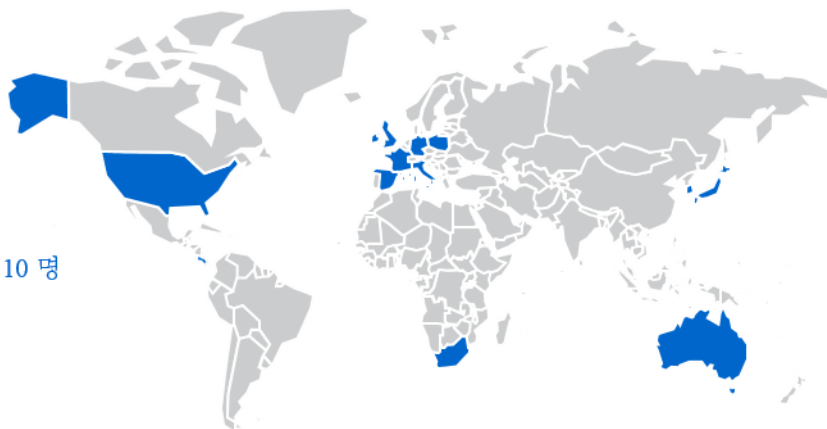
이 시험은 2016년 9월에 시작되어 2022년 5월에 종료될 예정입니다. 이 요약은 2017년 9월에- 시험 시작 후 1년째에 - 수집하여 분석한 1차 분석 결과를 포함하고 있습니다. 이 요약을 작성하는 시점에서, 시험은 계속 진행 중입니다 - 시험 담당의사들은 여전히 정보를 수집하고 있으며, 시험에 참여하고 있는 사람들에 대한 모니터링이 계속해서 이루어지고 있습니다.



그림상의 달력 기호 (📅)는 이 요약에 나온 결과가 수집된 때인 2017년 9월을 나타냅니다.

시험은 전세계 14개국, 39개 시험기관에서 진행되고 있습니다. 다음 지도는 이 시험이 진행되고 있는 나라를 나타냅니다.

- 호주 - 12명
- 코스타리카 - 9명
- 프랑스 - 9명
- 독일 - 8명
- 아일랜드 - 4명
- 이탈리아 - 12명
- 일본 - 19명
- 폴란드 - 13명
- 남아프리카공화국 - 10명
- 한국 - 4명
- 스페인 - 14명
- 대만 - 5명
- 영국 - 7명
- 미국 - 26명



2. 누가 이 시험에 참여하고 있나요?

이 시험에는 A 형 혈우병을 가진 152 명의 사람들이 참여하고 있습니다. 이들은 모두 12 세 이상이며, 남성입니다.

다음에 해당하는 경우 시험에 참여할 수 있었습니다:

- 제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는 중증 A 형 혈우병이 있는 사람
- 시험 시작 시점에 체중이 40kg 이상인 사람.

다음에 해당하는 경우 시험에 참여할 수 없었습니다:

- 출혈 위험을 증가시킬 수 있는 A 형 혈우병 이외의 질병이나 상태가 있는 사람.

3. 이 시험 동안 무슨 일이 일어나나요?

이 시험에 참여하기 전에 제 8 응고인자 예방 요법을 받지 않았던 사람은 무작위로 (무작위 배정) 세 치료군 (A 군, B 군 또는 C 군) 중 하나에 배정되었습니다. 이 시험에 참여하기 이전에 제 8 응고인자 예방 요법을 받고 있던 사람은 D 군에 배정되었습니다.

치료군은 다음과 같습니다:

- **A 군** - 혈액 내 에미시주맙 양을 신속하게 증가시키기 위해, 이들은 우선 에미시주맙 3 mg/kg (체중 1 kg 당 에미시주맙 3 mg 을 의미)을 4 주 동안 매주 1 회 투여 받았습니다. 이는 '부하 용량'이라고 불립니다. 4 주 후에, 이들은 에미시주맙 1.5 mg/kg 을 최소 24 주 동안 매주 1 회 투여 받기 시작했습니다. 이는 '유지 용량'이라고 불립니다.
- **B 군** - A 군처럼, 이들은 먼저 부하용량인 에미시주맙 3 mg/kg 을 4 주 동안 매주 1 회 투여 받았습니다. 4 주 후에, 이들은 유지 용량으로 에미시주맙 3 mg/kg 을 최소 24 주 동안 2 주마다 1 회 투여 받기 시작했습니다.
- **C 군** - 이들은 시험에 참여한 첫 24 주 동안 아무런 예방 요법을 받지 않았습니다. 24 주 후 C 군의 사람들은 에미시주맙 투여를 시작할 수 있었으며, 에미시주맙으로 전환한 경우에는, 부하용량인 에미시주맙 3 mg/kg 을 4 주 동안 매주 1 회 투여 받기 시작했습니다. 4 주 후에는 B 군과 같이 유지 용량으로 에미시주맙 3 mg/kg 을 최소 24 주 동안 2 주마다 1 회 투여 받기 시작했습니다.
- **D 군** - 이들은 이 시험을 시작하기 전에 제 8 응고인자 예방 요법을 받고 있었습니다. D 군의 사람들은 먼저 부하 용량인 에미시주맙 3 mg/kg 을 4 주 동안 매주 1 회 투여 받았으며, 4 주 후 유지 용량인 에미시주맙 1.5 mg/kg 을 최소 24 주 동안 매주 1 회 투여 받았습니다.

시험에 참여한 모든 사람은 출혈이 있었을 경우 '필요시' 제 8 응고인자 대체 요법을 받을 수 있었습니다.

다음 이미지는 시험 설계를 보여줍니다:

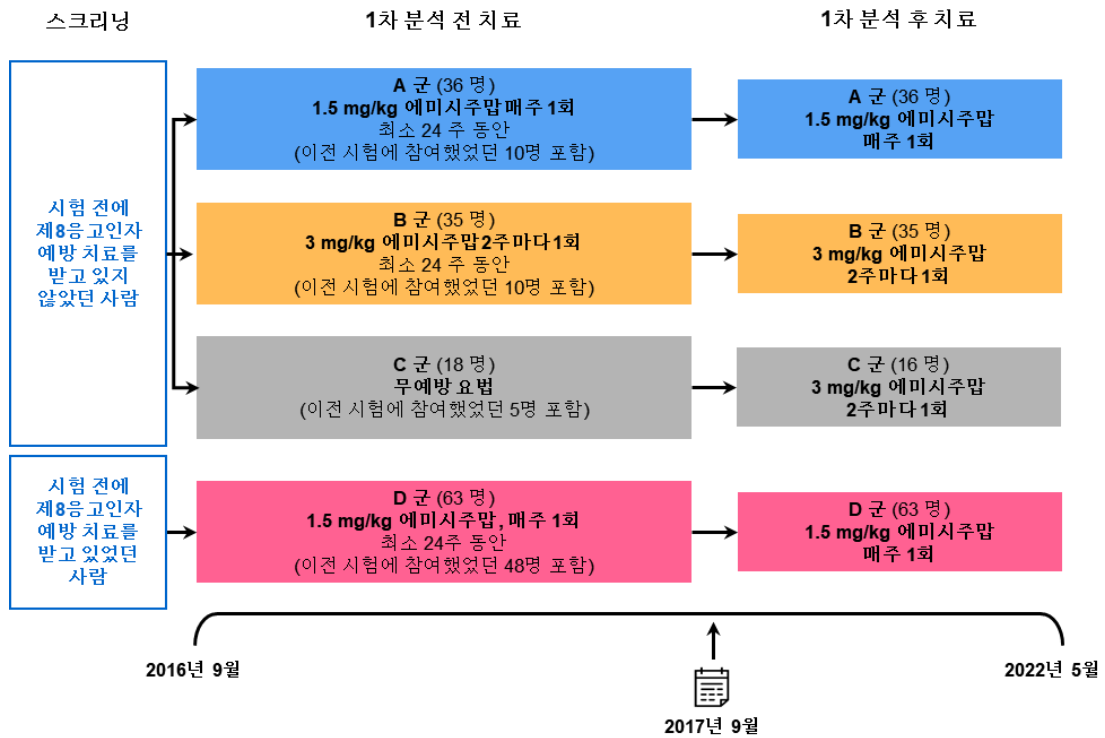


그림 상의 달력 기호 (📅)는 이 요약에 나온 결과가 수집된 때인 2017년 9월을 나타냅니다.

C군의 사람들은 시험의 첫 24주 동안은 아무런 예방 요법을 받지 못했지만, 24주 후에는 에미시주맙 치료를 시작하는 것을 선택 할 수 있었습니다. 본 요약의 결과가 나왔을 때, C 군에 해당하는 18 명의 사람들 중 16 명이 에미시주맙 투여를 시작했습니다. 에미시주맙을 투여 받지 않은 2명 중 1명은 연락이 되지 않았고, 다른 1명은 에미시주맙 투여를 시작하기 위해 대기하는 중이었습니다.

이 시험은 여전히 진행 중입니다. 시험이 종료될 때, 이 시험에 참여하고 있는 사람들은 계속해서 에미시주맙을 투여 받거나, 원하는 경우 다른 치료로 변경할 수 있습니다.

4. 이 시험의 1차 분석에서 나온 결과는 무엇인가요?

질문 1: 에미시주맙을 매주 1회 또는 2주마다 1회 투여했을 때 비예방 요법 (필요시 치료만 받음)에 비해 얼마나 많은 출혈이 있었나요?

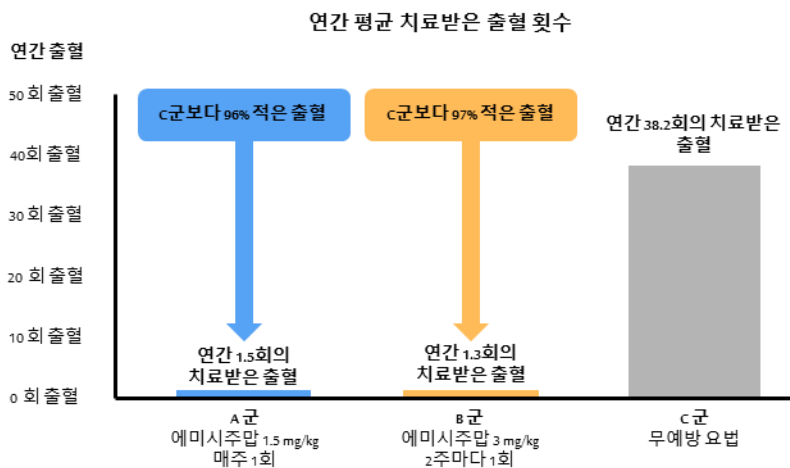
만약 어떤 사람이 시험에 참여하는 동안 출혈이 발생한 경우, 필요시 제 8 응고인자 치료를 받을 수 있습니다. 이러한 방식으로 치료되는 출혈을 ‘치료받은 출혈’이라고 부릅니다.

의사들은 A 군과 B 군의 사람들이 출혈 예방을 위해 에미시주맙을 투여 받고 있을 때, 1년 동안 평균적으로 얼마나 많은 **치료받은 출혈**이 있었는지를 살펴보았습니다. 이것을 C 군의 사람들이 비예방 요법 (필요시 치료만 받음)을 받고 있을 때 1년 동안 평균적으로 얼마나 많은 치료받은 출혈이 있었는지와 비교했습니다. 1차 분석 시점에, 시험에 참여한 일부 사람들은 1년의 치료 기간을 다 채우지 못했습니다. 이 경우, 의사들은 그들이 치료를 받은 기간 동안 발생한 치료받은 출혈 횟수를 이용하여 1년 동안 잠재적으로 발생할 수 있는 치료받은 출혈 횟수를 추정했습니다.

예방 치료를 받지 않았던 C 군 사람들은 연간 평균 38.2 회의 치료받은 출혈이 있었습니다. C 군의 모든 사람들은 최소 1회 이상의 치료받은 출혈이 있었습니다.

에미시주맙을 매주 1회 투여 받은 A 군의 사람들은 연간 평균 1.5 회의 치료받은 출혈이 있었습니다. 이들 중 절반이 넘는 사람들 (36명 중 20명, 56%)은 치료 받은 출혈이 없었습니다.

에미시주맙을 2주마다 1회 투여 받은 B 군의 사람들은 연간 평균 1.3 회의 치료받은 출혈이 있었습니다. 이들 중 거의 3분의 2 (35명 중 21명, 60%)에 해당하는 사람들은 치료 받은 출혈이 없었습니다.

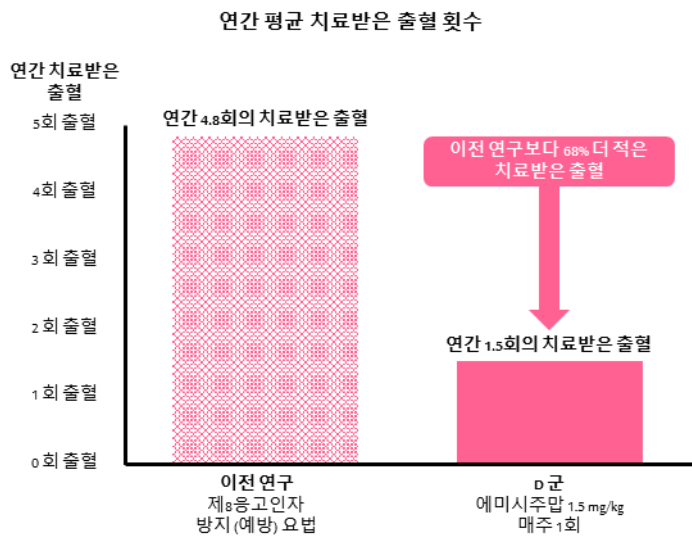


질문 2: 이전 시험에서 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있을 때의 출혈 횟수와 비교했을 때, 이 시험에서 사람들에게 얼마나 많은 출혈이 있었나요?

의사들은 이 시험에서 에미시주맙을 투여 받고 있을 때의 치료받은 출혈 횟수를 동일한 사람이 이전 시험에서 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있었을 때의 치료받은 출혈 횟수와 비교하여 확인했습니다. 이는 이전 시험에서 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있었던 D 군에 속한 48명에 대한 검토로 이루어졌습니다. 이들 48명으로부터 나온 결과는 여기에 포함되어 있습니다.

이 48명의 사람들은 이전 시험에서 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있었을 때에는 연간 평균 4.8 회의 치료받은 출혈을 경험했음에 비해, 이 시험에서 에미시주맙을 투여 받고 있을 때는 연간 평균 1.5 회의 치료받은 출혈을 경험했습니다.

이는 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받고 있었을 때보다 에미시주맙을 투여 받고 있을 때 68% 더 적은 치료받은 출혈이 있었음을 의미합니다.



이전 시험에서는 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법을 받은 사람의 40% (48 명 중 19 명)가 치료받은 출혈을 경험하지 않았습니다. 에미시주맙으로 전환한 후에는 해당 인원의 54% (48 명 중 26 명)가 치료받은 출혈을 경험하지 않았습니다.

이 항은 2017 년 9 월까지의 시험에서 나온 핵심 결과만을 보여 줍니다. 기타 모든 결과에 대한 정보는 이 요약의 끝 부분에 있는 웹사이트에서 확인할 수 있습니다 (8 항 “추가 정보는 어디서 확인할 수 있나요?” 참조).

5. 이 시험의 1 차 분석에서 보고된 부작용은 무엇인가요?

질문 3: 얼마나 많은 사람에게서 부작용이 있었나요?

부작용 (‘이상 반응’ 이라고도 알려짐)은 시험 중에 발생하는 원치 않는 의학적 문제 (어지러운 느낌과 같은) 입니다.

- 이 요약에 수록된 부작용들은 시험 담당의사가 해당 부작용에 대해 에미시주맙 치료와 관련이 있다고 판단하여 기재되었습니다.
- 시험에 참여한 모든 사람에게서 부작용이 발생하는 것은 아니며, 부작용이 있는 사람이 아래에 수록된 모든 부작용을 경험하는 것은 아닙니다.
- 부작용은 경증에서 심각한 것까지 다양하며 사람에 따라 달라질 수 있습니다.
- 여기에 보고된 부작용은 이 단일 시험에서 나온 것임을 인지하는 것이 중요합니다. 따라서, 수록된 부작용은 다른 시험에서 보인 부작용이나 약 설명서에 나와있는 부작용과는 다를 수 있습니다. 다음 항에는 이 시험의 의사들이 에미시주맙 치료와 관련이 있다고 판단한 부작용들이 수록되어 있습니다. 에미시주맙 치료와 관련이 없는 부작용은 이 문서에 수록되어 있지 않습니다.

C 군의 경우, 시험에 참여한 지 최소 24 주 후에 에미시주맙으로 전환한 사람만이 이 항에 포함됩니다. C 군의 사람들은 시험의 첫 24 주 동안은 아무런 예방 요법도 받지 않았으나, 24 주 후에는 에미시주맙 치료를 시작할 수 있도록 선택할 수 있었습니다.

심각한 부작용

부작용이 생명을 위협하거나 병원 치료가 필요하거나 지속적인 문제를 유발하거나 사망을 유발하는 경우, ‘심각한’ 것으로 간주됩니다.

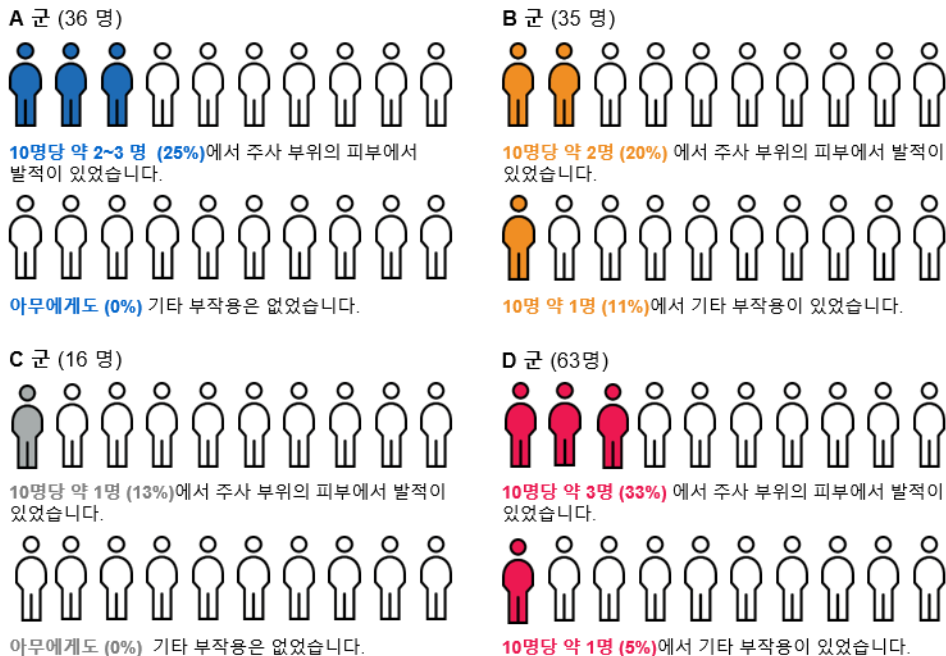
시험 동안에는 어느 누구도 에미시주맙 사용과 관련된 **심각한 부작용**을 경험하지 않았습니다.

가장 흔한 부작용

시험 기간 동안 약 3 명 중 1 명 (33%)은 에미시주맙과 관련된 심각하지 않은 부작용을 경험했습니다. 에미시주맙과 관련된 유일한 부작용은 주사 부위 피부의 발적 (‘주사 부위 반응’이라고도 불림)이었으며, 이는 모든 치료 군에서 5% (20 명 중 1 명) 이상의 사람들이 경험했음을 의미하는 ‘흔한’ 부작용으로 간주되었습니다.

이 시험 동안 발생한 기타 부작용에는 기침 또는 감기와 같은 것이 있었으나, 시험 담당의사는 이들이 에미시주맙 치료와 관련되었다고 판단하지 않았습니다.

얼마나 많은 사람에서 에미시주맙 치료와 관련된 부작용이 있었나요?



B 군 중 1 명 (35 명 중 1 명, 3%)은 심각한 것으로 여겨지지 않았던 몇 가지 경증 부작용으로 인해 에미시주맙 투여를 중단하기로 결정하였습니다. 이 사람을 치료하고 있는 의사는 이러한 부작용이 에미시주맙 치료와 관련되어 있다고 판단했습니다.

기타 부작용

본 시험에서 제 8 응고인자에 대한 새로운 억제인자가 생긴 사람은 없었습니다.

그 밖의 덜 흔한 부작용 (위 항에 나와 있지 않은)에 대한 정보는 이 요약의 끝부분에 수록된 웹사이트에서 확인할 수 있습니다 (8 항 “추가 정보는 어디서 확인할 수 있나요?” 참조).

6. 이 시험이 어떻게 연구에 도움이 되나요?

이 요약에 나와 있는 정보는 제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는 12 세 이상의 A 형 혈우병을 가진 152 명에 대한 단일 시험에서 나온 것입니다. 이 결과는 의사들이 제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는 A 형 혈우병을 가진 사람에게서 에미시주맙의 효과를 더 많이 이해하는 데 도움을 주고 있습니다.

이전 시험에서는 에미시주맙을 매주 1 회 투여했을 때, 에미시주맙이 제 8 응고인자에 대한 억제인자가 있는 A 형 혈우병을 가진 모든 연령의 환자에게서 출혈을 예방할 수 있다는 것을 보여 주었습니다.

본 시험의 결과는, 제 8 응고인자에 대한 억제인자가 없는 A 형 혈우병을 가진 사람에게 에미시주맙을 매주 1 회 또는 2 주마다 1 회 투여하는 경우가 비예방 (필요시) 요법 및 제 8 응고인자 방지 (예방) 요법보다 출혈을 더 잘 예방한다는 것을 보여줍니다. 또한, 에미시주맙이 심각한 부작용을 일으키지 않는다는 것을 보여 주었습니다.

단일 시험만으로는 약물의 위험성과 유익성에 대한 모든 것을 확인할 수는 없습니다. 우리가 알아야 할 것을 찾기 위해서는 더 많은 사람들이 여러 시험에 참여해야 합니다.

- 이는 귀하가 이 하나의 요약에 따라 결정을 내리시는 안됨을 의미합니다. – 귀하의 치료에 대한 결정을 내리기 전에 항상 담당의사와 상의하시기 바랍니다.

7. 다른 시험에 대한 계획이 있나요?

에미시주맙 치료에 대한 다른 시험들이 진행되고 있으며, 추가 시험들도 계획되어 있습니다.

이 요약을 작성하는 시점에도 이 시험은 여전히 진행 중이며, 의사들은 계속해서 정보를 수집하고 있습니다.

8. 추가 정보는 어디서 확인할 수 있나요?

이 시험에 대한 추가 정보는 아래 웹사이트에서 확인할 수 있습니다:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02847637>

이 시험의 결과에 대한 추가 정보를 찾아 보고 싶을 경우, 관련된 과학 논문의 전체 제목은 다음과 같습니다: ‘Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A Without Inhibitors’. 과학 논문의 저자는 J. Mahlangu, J. Oldenburg, I. Paz-Priel, C. Négrier, M. Niggli 등입니다. 이 논문은 ‘뉴잉글랜드 의학저널’ (‘The New England Journal of Medicine’), 제 379 권, 811-822 페이지에 발표되었습니다.

이 시험에 대한 질문이 있을 경우, 누구에게 연락할 수 있나요?

만약 귀하가 이 요약을 읽고 난 뒤 추가 질문이 있을 경우:

- ForPatients 플랫폼을 방문하여 연락 양식을 작성하십시오
<https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- 또는, 귀하가 속한 국가에 있는 Roche 지사 사무실의 담당자에게 연락하십시오.

만약 귀하가 본 시험에 참여했고, 이 결과에 대해 질문이 있을 경우:

- 시험 병원 또는 진료소에 있는 시험 담당의사 또는 담당 직원과 상의하십시오.

만약 귀하가 받고 있는 치료에 대해 질문이 있을 경우:

- 귀하의 치료를 담당하고 있는 의사와 상의하십시오.

누가 이 시험을 조직하고 비용을 지불했습니까?

스위스 바젤에 본사를 둔 F. Hoffmann-La Roche Ltd 와 일본 도쿄에 본사를 둔 Chugai Pharmaceutical Co., Ltd 가 본 시험을 조직하고 비용을 지불했습니다.

시험의 전체 제목 및 기타 식별 정보

이 시험의 전체 제목은: ‘억제인자가 없는 A 형 혈우병 참가자에서 비예방 치료와 비교하여 에미시주맙 예방 치료를 평가하기 위한 임상시험 (HAVEN 3)’입니다.

이 시험은 ‘HAVEN 3’로 알려져 있습니다.

- 이 시험의 임상시험계획서 번호는 BH30071 입니다.
- 이 시험에 대한 ClinicalTrials.gov 의 식별자는 NCT02847637 입니다.
- 이 시험의 EudraCT 번호는 2016-004366-25 입니다.

9. 시각적 정보 요약



제8응고인자에 대한 억제인자가 없는 A형 혈우병을 가진 12세 이상의 사람들에서 에미시주맵▼이 출혈을 예방할 수 있는지와 에미시주맵 투여에 따른 부작용이 있는지를 알아 보는 시험



이는 일반 대중 및 시험에 참여했던 사람들을 위해 작성된 시험 결과에 대한 요약입니다.
여기에서 2017년 9월까지의 시험에 대한 1차 분석 결과를 보고합니다 - 장기간 자료 수집을 위해 시험은 계속 진행 중입니다.

왜 이 시험이 이루어지고 있나요? 누가 이 시험에 참여하고 있나요?

A형 혈우병은 희귀한 유전적 혈액 이상입니다. A형 혈우병이 있는 사람은 '제8응고인자'로 불리는 단백질의 활성이 희박하거나 없습니다. 이 활성 단백질이 없으면, 혈액이 정상적으로 응고될 수 없으며, 이는 A형 혈우병이 있는 사람에서 출혈이 많이 생긴다는 것을 의미합니다.

이 시험은 다음에서 이루어지고 있습니다:
+ **39** 개 시험기관 📍 **14** 개국 전 세계

이 시험에서 주목해야 할 것은 **에미시주맵**으로 불리는 약입니다. 의사들은 정기적인 에미시주맵 투여로 A형 혈우병이 있는 사람에서 출혈을 예방할 수 있는지, 그리고 에미시주맵 투여에 따른 부작용이 있는지를 확인하고자 이 시험을 하고 있습니다. 부작용은 치료를 받는 동안 생길 수 있는 원치 않는 의학적 문제입니다.

152 명의 A형 혈우병을 가진 사람들이 참여하고 있습니다.
이들 모두 12세 이상이며 남성입니다.

이 시험에서 무슨 일이 일어나고 있나요?

이 시험을 시작하기 전에 예방 요법을 받고 있지 않았던 사람은 A군, B군 또는 C군 중 하나의 치료군에 무작위 배정되었습니다. 이 시험을 시작하기 전에 대체 제8응고인자로 불리는 예방 요법을 받고 있었던 사람은 D군에 배정되었습니다.

A 군 36 명	B 군 35 명	C 군 18 명	D 군 63 명
에미시주맵 3 mg/kg 4주 동안 매주 1회 그리고 나서↓ 에미시주맵 1.5 mg/kg 최소 24주 동안 매주 1회	에미시주맵 3 mg/kg 4주 동안 매주 1회 그리고 나서↓ 에미시주맵 3 mg/kg 최소 24주 동안 2주마다 1회	 최소 24주간 무예방 치료	에미시주맵 3 mg/kg 4주 동안 매주 1회 그리고 나서↓ 에미시주맵 1.5 mg/kg 최소 24주 동안 매주 1회

- 에미시주맵이 출혈을 예방하는지 확인하기 위해, 의사들은 A군 및 B군의 출혈 횟수와 C군의 출혈 횟수와 비교했습니다.
- 24주 후, C군의 16명은 에미시주맵을 투여하기 시작했습니다 (B군과 동일한 투여 용량).
- 의사들은 또한 D군 사람들의 출혈 횟수와 동일인이 이전에 제8응고인자 대체요법을 받고 있을 때의 출혈 횟수를 비교함으로써, 에미시주맵이 제8응고인자 대체요법보다 출혈 예방 효과가 더 좋았음을 확인하고자 하였습니다.

이 시험의 1차 분석에서 나온 결과는 무엇인가요? 이 시험의 1차 분석에서 보고된 부작용은 무엇인가요?

에미시주맵을 받고 있는 사람들은 무예방 치료를 받는 사람보다 **96% 더 적은 치료받은 출혈**이 있었습니다.

A 군 (에미시주맵 매주 1회)	B 군 (에미시주맵 2주마다 1회)	C 군 (무예방 치료)
1.5 연간 출혈	1.3 연간 출혈	38.2 연간 출혈

D군에서는, 제8응고인자 예방요법을 받고 있던 때보다 에미시주맵을 받고 있을 때 **68% 더 적은 치료받은 출혈**이 있었습니다

이 시험 (에미시주맵 매주 1회)	이전 시험 (제8응고인자 대체요법)
1.5 연간 출혈	4.8 연간 출혈

여기에 수록된 부작용은 시험 담당의사들이 시험 치료인 에미시주맵과 관련되었다고 믿고 있는 것입니다. 기침 또는 감기와 같은 기타 부작용들도 있었지만, 시험 담당의사들은 이들이 에미시주맵 치료와 관련되었다고 믿지 않았습니다.

3명당 1명 (33%)에서 에미시주맵 치료와 관련된 부작용이 있었습니다.

5% (20명 중 1명)가 넘는 사람들에서 나타났음을 의미하는 '흔한'으로 간주된 치료와 관련된 유일한 부작용은 주사 부위 피부의 발적 (주사 부위 반응'이라고도 불림)이었습니다. 1명을 초과한 사람들에서 나타난 시험 치료와 관련된 기타 부작용은 두통 (4명) 및 오심 (2명)이 있었습니다.

이 시험이 어떻게 연구에 도움이 되나요?

이러한 결과는 A형 혈우병이 있는 사람들에서 매주 1회 또는 2주마다 1회 투여한 에미시주맵이 무예방 요법이나 제8응고인자 대체 요법에 비해 더 출혈을 예방했고 심각한 부작용을 일으키지 않았음을 보여줍니다.

이 시험은 'HAVEN 3' (NCT02847637)로 알려져 있고, F. Hoffmann-La Roche Ltd 및 Chugai Pharmaceutical Co., Ltd 가 주최하고 비용을 지불했습니다. M-XXX-00003199 준비일자: 2020년 12월

▼ 에미시주맵은 추가 모니터링 대상입니다. 이는 새로운 안전성 정보에 대한 신속한 확인을 가능하게 할 것입니다. 만약, 귀하 또는 귀하가 돌보는 누군가에게 이 치료를 받는 동안 부작용이 생긴다면, 즉시 귀하의/그 사람의 담당의사에게 말해야 합니다.

10. 용어집

임상시험	연구자들이 한 그룹의 사람들에게 약이 어떻게 작용하는지, 사람들의 상태를 개선하는 데 도움을 주는지, 그리고 부작용을 일으키는지에 대한 더 자세한 정보를 알아내기 위해 약을 투여하는 것을 말합니다. 연구자들은 약을 투여하고 있는 사람들을 정기적으로 추적관찰하고 의학적 검사를 실시합니다.
DNA	DNA 는 세균에서 인간까지 알려진 모든 살아 있는 유기체의 구성 요소를 만드는 코드입니다. 우리 몸 속에 있는 DNA 는 우리를 만들라는 지시를 전달하며, 우리의 유전자를 구성하고 있는 물질입니다.
유전자	유전자는 우리의 부모로부터 물려받은 DNA 의 단위로 사람들이 누구인지를 만드는 데 필요한 모든 정보가 – 그 사람의 눈 색깔부터 혈액형까지 – 담겨 있습니다.
유전	특정 유전자를 통해 한 세대에서 다음 세대로 전해집니다.
제 8 응고인자에 대한 억제인자	제 8 응고인자 대체요법에 반응하여 신체 면역체계에 의해 생성되는 항체. 제 8 응고인자에 대한 억제인자는 제 8 응고인자 대체요법의 출혈 예방 작용을 막을 수 있습니다. 제 8 응고인자에 대한 억제인자는 종종 어린이가 처음으로 제 8 응고인자 대체요법 치료를 받는 어린 나이에 생깁니다.
주사 부위 반응	주사 부위 피부의 발적, 통증 또는 부종.
IV 주사	정맥 내 주사. 정맥으로 주사.
부하 용량	동일한 약의 더 낮은 유지 용량으로 떨어뜨리기 전에 신속히 혈중 약 농도를 증가시키기 위해 치료 기간 시작 단계에 투여되는 더 높은 초기 약 용량.
유지 용량	허용 가능한 출혈 예방을 보이는 약의 농도를 유지하기 위해 투여되는 약 용량.
필요시 치료	출혈이 발생했을 때, 출혈을 멈추게 하는 치료.
공개	연구자와 시험에 참여하고 있는 사람 모두가 어떤 시험약을 투여 받고 있는지 알고 있는 임상시험.
1 상 시험	신약을 연구하는 최초 임상시험 중의 하나. 시험 담당의사는 어떻게 영향을 미치는지 살펴보고 약에 대한 더 많은 정보를 찾아 내기 위해 신약을 소수의 사람들에게 투여합니다.
2 상 시험	신약이 시험 대상 질병이나 상태가 있는 사람들에서 얼마나 효과적인지를 알아보고, 신약의 부작용은 무엇인지를 결정하기 위한 임상시험. 2 상 시험은 더 많은

	사람을 대상으로 하고, 보통 1 상 시험보다 더 길게 이루어집니다.
3 상 시험	신약이 얼마나 안전하고 유효한지를 추가로 평가하기 위한 임상시험으로, 보통 1 상 및 2 상 시험보다 더 많은 사람이 참여합니다. 3 상 시험은 또한 신약을 기존 치료와 비교하여 어떤 약이 더 효과가 있는지, 신약의 부작용은 무엇인지, 그리고 새로운 치료법이 사람들의 삶의 질에 얼마나 영향을 미치는지를 보여줍니다.
예방 치료	출혈 및 그에 따른 관절 및 근육 손상을 방지하기 위해 정기적으로 이루어지는 치료.
단백질	우리 몸의 단순하고 복잡한 구조 모두를 구성하고 있으며 머리카락 및 피부에서 효소 및 항체까지 살아 있는 유기체의 거의 모든 것을 이루고 있는 아미노산이라 불리는 아주 작은 단위로 된 긴 사슬. 단백질을 만드는 방법에 대한 정보는 유전자에 들어 있습니다.
무작위 배정	사람들을 무작위로 나누어 진행하는 임상시험. 이는 보통 컴퓨터에 의해 이루어집니다. 보통 각 군은 서로 다른 유형의 치료를 받게 됩니다.
안전성 프로파일	약의 작용 기전, 기능 및 부작용을 포함하여 약의 특성에 대한 개요.
심각한 부작용	생명을 위협하거나 병원 치료가 필요하거나 지속적인 문제를 유발하거나 사망을 유발하는 부작용.
부작용	약 투여로 인해 발생하는 원치 않는 의학적 효과. 부작용은 긍정적일 수도 부정적일 수도 있습니다.
치료받은 출혈	대체 제 8 응고인자로 치료받은 출혈.
치료 부담	만성적 (장기적) 질병이 있는 사람이 자신의 상태를 치료하기 위해 매일 취해야 하는 조치로, 이러한 조치가 기능, 웰빙, 관계 및 삶의 질에 미치는 영향을 포함합니다.