

## Résumé des résultats de l'étude clinique

### Étude d'extension visant à évaluer la sécurité d'emploi à long terme du faricimab chez des patients atteints d'œdème maculaire diabétique

Voir section 8 (page 14) à la fin du résumé pour le titre complet de l'étude.

#### À propos de ce résumé

Ceci est le résumé des résultats d'un essai clinique (dénommé « étude » dans ce document) rédigé pour :

- Le public en général ; et
- Les patients ayant participé à l'étude.

Ce résumé s'appuie sur les informations connues au moment de sa rédaction.

L'étude a débuté en août 2020 et s'est terminée en octobre 2023. Le présent résumé a été rédigé après la fin de l'étude.

Aucune étude ne peut fournir à elle seule tous les renseignements sur les risques et les bénéfices d'un médicament. Il faut beaucoup de personnes prenant part à de nombreuses études pour découvrir tout ce que nous avons besoin de savoir. Les résultats de cette étude pourraient être différents de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

- C'est pourquoi vous ne devriez prendre aucune décision fondée sur ce seul résumé. Consultez toujours votre médecin avant de prendre une quelconque décision en rapport avec votre traitement.

#### **Nous remercions les personnes ayant participé à cette étude**

Les participants ont aidé les chercheurs à répondre à d'importantes questions sur l'œdème maculaire diabétique (OMD) et sur le médicament étudié, le « faricimab ».

## **Informations clés sur cette étude**

- Cette étude était une « étude d'extension ». Cela signifie que les patients ayant participé à l'étude avaient déjà terminé une autre étude sur le même médicament auparavant.

### **Pourquoi cette étude a-t-elle été menée ?**

- Dans cette étude d'extension, les patients ont reçu le médicament à l'étude (appelé le « faricimab »).
- Cette étude d'extension a été réalisée afin d'évaluer la sécurité d'emploi des injections de faricimab dans l'œil en tant que traitement à long terme de l'OMD.

### **Qui a participé à cette étude ?**

- Cette étude a inclus 1 474 participants dans 30 pays. Parmi ces patients, 1 464 ont reçu au moins 1 dose de faricimab et ont été inclus dans les données de sécurité d'emploi.

### **Quels étaient les résultats ?**

- Les principales observations ont été que le faricimab a été bien toléré et qu'aucun nouveau problème de sécurité d'emploi n'a été identifié.
- Moins de 1 % des patients (2 sur 1 464) ont présenté des effets indésirables graves considérés comme liés au faricimab et qui ont affecté leur œil.
- Moins de 1 % des patients (3 sur 1 464) ont présenté d'autres effets indésirables graves non oculaires considérés comme liés au faricimab

## 1. Informations générales relatives à cette étude

### **Pourquoi cette étude a-t-elle été menée ?**

---

L'œdème maculaire diabétique (OMD) est une maladie dans laquelle des taux élevés de sucre dans le sang dus au diabète provoquent une fuite de liquide dans la zone centrale à l'arrière de l'œil. Cela peut entraîner une vision floue.

Cette étude d'extension (appelée « RHONE-X » ou « GR41987 ») a été réalisée afin de déterminer dans quelle mesure un médicament appelé « faricimab » était sûr pour le traitement de l'OMD lorsqu'il était administré sur une longue période. Il s'agissait d'une extension de 2 études antérieures sur l'OMD, appelées « études précédentes » dans ce document.

Les noms des études précédentes étaient « YOSEMITE » ou « GR40349 » et « RHINE » ou « GR40398 ».

### **Quel était le médicament à l'étude ?**

---

Cette étude a porté sur un médicament appelé « faricimab ».

- Cela se prononce « fa-ri-si-mab ».
- Le faricimab agit en ralentissant la croissance de nouveaux vaisseaux sanguins dans l'œil et en réduisant la quantité de liquide qui s'écoule des vaisseaux sanguins.
- Cela pourrait signifier que le traitement par faricimab pourrait prévenir les lésions oculaires et protéger la vision chez les personnes atteintes d'OMD.

### **Que les chercheurs souhaitent-ils savoir ?**

---

Dans les études précédentes, les chercheurs avaient évalué l'efficacité de différents moments du traitement par faricimab et la sécurité d'emploi par rapport à un médicament existant (appelé « aflibercept »). Les patients ont reçu le faricimab soit tous les 2 mois, soit selon leurs besoins, en fonction de leur vue. Les études précédentes ont montré que la vision s'est améliorée chez les patients atteints d'OMD, leur

---

permettant d'espacer les traitements.

Dans cette étude d'extension, certains des patients ayant participé aux études précédentes ont continué à prendre le faricimab à long terme, après la fin des études précédentes.

- Les chercheurs souhaitaient recueillir des informations sur les questions suivantes :

- La sécurité d'emploi du faricimab sur le long terme
- Comment l'organisme des patients a-t-il fait face au faricimab à long terme ?

Les questions principales auxquelles les chercheurs souhaitaient répondre étaient les suivantes :

1. Combien de patients ont présenté des effets indésirables oculaires et quel était leur degré de gravité ?
2. Combien de patients ont présenté d'autres effets indésirables non oculaires et quel était leur degré de gravité ?

### **De quel type d'étude s'agissait-il ?**

---

Cette étude était une extension de 2 études de phase 3. Cela signifie que le faricimab avait été testé chez un certain nombre de patients atteints d'OMD avant cette étude. Dans cette étude, les patients atteints d'OMD ont continué à prendre le faricimab ; il s'agissait de découvrir la sécurité à long terme du faricimab.

### **Quand et où l'étude s'est-elle déroulée ?**

---

L'étude a débuté en août 2020 et s'est terminée en octobre 2023. Le présent résumé a été rédigé après la fin de l'étude.

L'étude a eu lieu dans 318 centres d'étude - répartis dans 30 pays des Amériques, d'Australie, d'Asie et d'Europe. Il s'agissait des pays suivants :

Allemagne, Argentine, Australie, Autriche, Brésil, Bulgarie, Canada, Corée du Sud, Danemark, Espagne, États-Unis, France, Hong Kong, Hongrie, Israël, Italie, Japon, Mexique, Pérou, Pologne, Portugal, République tchèque, Royaume-Uni, Russie, Singapour, Slovaquie, Suisse, Taïwan, Thaïlande et Turquie. La carte suivante indique les pays dans lesquels l'étude a été menée.

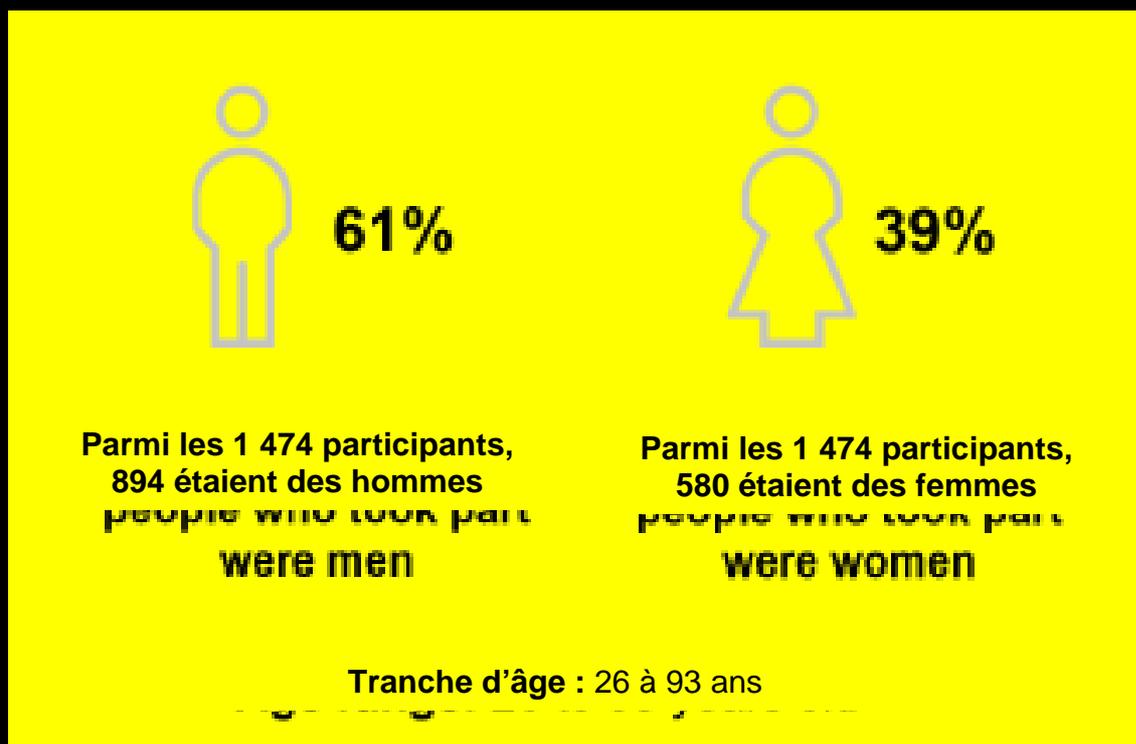


## 2. Qui a participé à cette étude ?

Dans cette étude, 1 474 patients atteints d'OMD ont participé. Les patients qui ont participé à l'étude étaient âgés de 26 à 93 ans.

894 des 1 474 patients (61 %) étaient des hommes et 580 des 1 474 patients (39 %) étaient des femmes.

Vous trouverez ci-dessous de plus amples renseignements sur les participants.



Les patients pouvaient participer à l'étude si :

- Ils avaient terminé le traitement par faricimab ou aflibercept dans l'une ou l'autre des études précédentes YOSEMITE ou RHINE
- Ils n'avaient pas arrêté de prendre le faricimab ou l'aflibercept au cours d'une étude précédente

Les patients ne pouvaient pas participer à l'étude si :

- Ils présentaient une autre affection oculaire ou une autre affection médicale susceptible de les empêcher de recevoir le faricimab
- Les patientes étaient enceintes ou allaitaient

### 3. Que s'est-il passé durant l'étude ?

Les études précédentes étaient menées « en aveugle ». Cela signifie que les participants aux études précédentes et les médecins investigateurs ne savaient pas si les patients recevaient une injection de faricimab ou d'aflibercept, ou une injection « simulée » à chaque visite.

Une procédure simulée utilise l'extrémité émoussée d'une seringue vide (sans aiguille) et la presse contre l'œil anesthésié pour simuler une véritable injection.

Cette procédure a été effectuée pour s'assurer que les résultats du traitement n'étaient pas affectés par ce que les patients attendaient. Les études précédentes étaient encore menées en aveugle au début de cette étude d'extension.

Au cours des 4 premiers mois de l'étude d'extension, afin de garder les études précédentes en aveugle, les patients ont effectué des visites de traitement mensuelles et ont reçu soit :

- le faricimab (le médicament étudié) sous forme d'injection dans l'œil, ou
- une injection simulée (une procédure sans effet qui imite la procédure étudiée).

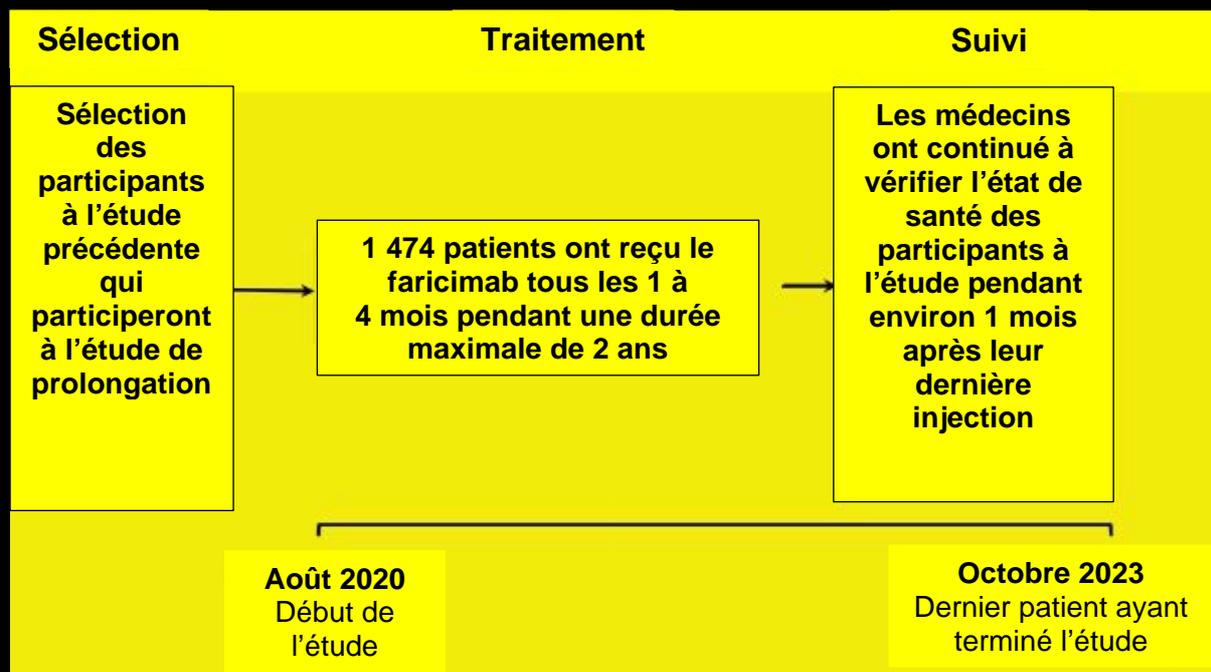
Après les 4 premiers mois, l'étude a été menée « en ouvert ». Une étude en ouvert signifie que toutes les personnes concernées, y compris les patients participant à l'étude et le médecin investigateur, savent quel traitement à l'étude est administré et à quelle fréquence.

Le traitement a été administré selon un « intervalle de traitement personnalisé ». Cela signifie que la fréquence à laquelle un patient devait recevoir l'injection a été déterminée sur la base de deux mesures oculaires. Ces mesures ont donné des informations aux médecins sur l'état de santé de l'œil et de la vue du patient.

Au cours de la période en ouvert, tous les patients ont reçu :

- le faricimab (le médicament étudié) sous forme d'injection dans l'œil, tous les 1 à 4 mois, selon les besoins

Les patients ayant pris part à l'étude ont reçu le traitement pendant une durée maximale de 2 ans. À la fin de l'étude, il a été demandé aux participants de se rendre à leur centre d'étude pour une autre visite, afin de vérifier leur santé oculaire globale. Vous trouverez ci-dessous plus d'informations concernant le déroulement de l'étude.



#### 4. Quels sont les résultats de l'étude ?

##### **Question 1 : Combien de patients ont présenté des effets indésirables oculaires et quel était leur degré de gravité ?**

Les effets indésirables sont des problèmes médicaux (tels qu'une sensation de vertige) qui surviennent pendant l'étude.

- Ils sont décrits dans ce résumé parce que le médecin investigateur estime que les effets indésirables étaient liés aux traitements de l'étude.
- Tous les patients de cette étude n'ont pas présenté tous les effets indésirables.
- Les effets indésirables peuvent être légers à très graves et peuvent différer d'une personne à l'autre.
- Un effet indésirable est considéré comme « grave » s'il met la vie en danger, nécessite des soins hospitaliers ou provoque des problèmes durables.

- 
- Il est important de noter que les effets secondaires signalés ici proviennent de cette seule étude. Par conséquent, les effets indésirables présentés ici peuvent être différents de ceux observés dans d'autres études.

Les chercheurs ont évalué la sécurité d'un traitement à long terme par le faricimab. Le nombre de patients dans l'étude qui ont pu être inclus dans ces résultats était de 1 464 sur 1 474. Certains patients n'ont pas été inclus parce qu'ils n'ont pas reçu de traitement par faricimab (par exemple, ils ont peut-être décidé de quitter l'étude d'extension avant que le traitement ne soit administré).

- 29 participants sur 1 464 (2 %) ont présenté des effets indésirables ayant affecté leur œil, non graves et considérés comme liés au faricimab
- 2 patients sur 1 464 (moins de 1 %) ont présenté des effets indésirables graves ayant affecté leur œil et considérés comme liés au faricimab
  - o Les deux patients s'étaient rétablis à la fin de l'étude

Vous trouverez à la rubrique 5 de plus amples renseignements sur le type d'effets indésirables observés.

## **Question 2 : Combien de patients ont présenté d'autres effets indésirables non oculaires et quel était leur degré de gravité ?**

---

Certains patients ont présenté des effets indésirables qui les ont affectés autrement qu'au niveau de l'œil :

- 3 patients sur 1 464 (moins de 1 %) ont présenté des effets indésirables graves non oculaires considérés comme liés au

faricimab.

- o 2 de ces patients s'étaient rétablis ou étaient en cours de rétablissement à la fin de l'étude
- o 1 patient ne s'était pas rétabli à la fin de l'étude

Vous trouverez à la rubrique 5 de plus amples renseignements sur le type d'effets indésirables observés.

Cette section montre seulement les résultats clés de l'étude. Vous trouverez des renseignements relatifs à tous les autres résultats sur les sites Web indiqués à la fin de ce résumé (voir la Section 8).

## 5. Quels ont été les effets indésirables ?

Les effets indésirables graves et fréquents sont énumérés dans les sections suivantes.

### Effets indésirables graves

Les effets indésirables graves liés au traitement par faricimab qui ont affecté l'œil ou d'autres parties du corps sont présentés dans les tableaux ci-dessous. Certains patients ont présenté plusieurs effets indésirables, ce qui signifie qu'ils ont été inclus dans plusieurs lignes du tableau.

Effets indésirables graves les plus fréquents ayant affecté l'œil, rapportés dans le cadre de cette étude	Patients traités par faricimab (1 464 patients au total)
Inflammation à l'intérieur de l'œil provenant de l'uvéïte, provoquant rougeur et douleur	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)
Rougeur, tuméfaction ou douleur de la partie colorée de l'œil et des zones avoisinantes	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)

Effets indésirables graves les plus fréquents rapportés dans cette étude qui ont affecté d'autres parties du corps	Patients traités par faricimab (1 464 patients au total)
Gêne cardiaque	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)
Insuffisance cardiaque	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)
Battements cardiaques plus rapides que d'habitude	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)
Accident vasculaire cérébral	Moins de 1 % (1 patient sur 1 464)

Aucun des participants à l'étude n'est décédé des suites d'effets indésirables qui auraient pu être liés au faricimab.

Pendant l'étude, certains patients ont décidé d'arrêter le traitement par faricimab en raison d'effets indésirables liés au faricimab :

- 2 patients sur 1 464 (moins de 1 %) ont arrêté de prendre le faricimab.

## Effets indésirables les plus fréquents

Les effets indésirables les plus fréquents considérés comme liés au traitement par faricimab et qui ont affecté l'œil sont présentés dans le tableau ci-dessous. Il s'agit des effets indésirables les plus fréquents observés chez plus de 2 participants à l'étude d'extension et qui n'ont pas été jugés graves. Certains patients ont présenté plusieurs effets indésirables. En conséquence, ils figurent sur plusieurs lignes du tableau.

<b>Effets indésirables non graves les plus fréquents ayant affecté l'œil, rapportés dans le cadre de cette étude</b>	<b>Patients traités par faricimab (1 464 patients au total)</b>
Pression oculaire supérieure à la normale	Moins de 1 % (11 patients sur 1 464)
Rougeur, gonflement ou douleur de la partie colorée de l'œil	Moins de 1 % (4 patients sur 1 464)
Opacification du cristallin de l'œil	Moins de 1 % (3 patients sur 1 464)
Inflammation de la substance gélatineuse à l'intérieur de l'œil	Moins de 1 % (3 patients sur 1 464)
Inflammation à l'intérieur de l'œil provenant de l'uvéïte, provoquant rougeur et douleur	Moins de 1 % (2 patients sur 1 464)
Trouble de la substance gélatineuse à l'intérieur de l'œil	Moins de 1 % (2 patients sur 1 464)
Rougeur, tuméfaction ou douleur de la partie colorée de l'œil et des zones avoisinantes	Moins de 1 % (2 patients sur 1 464)

Aucun des patients de l'étude n'a présenté d'effets indésirables non graves liés au traitement par faricimab et affectant d'autres parties du corps.

## Autres effets indésirables

---

Vous trouverez des informations sur d'autres effets indésirables (non présentés dans les sections ci-dessus) sur les sites Internet énumérés à la fin de ce résumé - voir section 8.

### 6. Dans quelle mesure cette étude a-t-elle contribué à la recherche ?

Les renseignements présentés ici proviennent d'une seule étude menée auprès de 1 474 patients atteints d'OMD. Ces résultats ont aidé les chercheurs à en savoir plus sur l'OMD et le faricimab.

Aucune étude ne peut fournir à elle seule tous les renseignements sur les risques et les bénéfices d'un médicament. Il faut beaucoup de personnes prenant part à de nombreuses études pour découvrir tout ce que nous avons besoin de savoir. Les résultats de cette étude pourraient être différents de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

- C'est pourquoi vous ne devriez prendre aucune décision fondée sur ce seul résumé. Consultez toujours votre médecin avant de prendre une quelconque décision en rapport avec votre traitement.

### 7. D'autres études sont-elles prévues ?

Des études sont en cours avec le faricimab et d'autres études sont prévues.

### 8. Où puis-je trouver de plus amples informations ?

Vous trouverez des informations supplémentaires concernant cette étude sur les sites Web suivants :

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04432831>

- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2020-000402-29/results>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerability-41480.html>

## **Avec qui pourrais-je communiquer si j'ai des questions concernant cette étude ?**

---

Si vous avez d'autres questions après avoir lu ce résumé :

- Consultez la plateforme ForPatients et remplissez le formulaire de contact : <https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerability-41480.html>
- Contactez un représentant du bureau local de Roche.

Si vous avez participé à cette étude et avez des questions sur les résultats :

- Adressez-vous au médecin investigateur ou au personnel de l'étude de l'hôpital ou de la clinique de l'étude.

Si vous avez des questions sur votre propre traitement :

- Adressez-vous au médecin responsable de votre traitement.

## **Qui a organisé et financé cette étude ?**

---

Cette étude a été organisée et financée par F. Hoffmann-La Roche Ltd., dont le siège se situe à Bâle, en Suisse.

## **Titre complet de l'étude et autres informations d'identification**

---

Le titre complet de cette étude est : « Étude d'extension de phase III, multicentrique, menée en mode ouvert en vue d'évaluer la sécurité d'emploi et la tolérance à long terme du faricimab chez des patients atteints d'œdème maculaire diabétique ».

L'étude est dénommée « RHONE-X ».

- Numéro de protocole de cette étude : GR41987.
- Identifiant ClinicalTrials.gov de cette étude : NCT04432831.
- Le numéro EudraCT de cette étude est le suivant : 2020-000402-29.