

Klinikai vizsgálati eredmények összefoglalása

A faricimab diabéteszes makulaödémában szenvedő betegekre vonatkozó hosszú távú biztonságosságának tanulmányozását kiterjesztő vizsgálat

A vizsgálat teljes címét lásd az összefoglaló végén található 8. pontban (14. oldal).

Tudnivalók erről az összefoglalóról

Ez egy klinikai vizsgálat (a dokumentumban a továbbiakban „vizsgálat”) eredményeinek összefoglalója - a következők számára íródott:

- a nyilvánosság és
- a vizsgálatban résztvevők.

Ez az összefoglaló a megírásakor ismert információkon alapul.

A vizsgálat 2020 augusztusában kezdődött, és 2023 októberében fejeződött be. Ezt az összefoglalót a vizsgálat befejezése után írták.

Egyetlen vizsgálat sem tudja megmutatni egy gyógyszer minden kockázatát és előnyét. Sok emberre és sok vizsgálatra van szükség ahhoz, hogy mindent megtudjunk, amit tudnunk kell. Ennek a vizsgálatnak az eredményei eltérhetnek az ugyanezzel a gyógyszerrel végzett más vizsgálatokétól.

Ez azt jelenti, hogy nem szabad döntést hozni ezen egyetlen összefoglaló alapján - mielőtt kezelésére vonatkozó döntést hozna, mindig beszéljen az orvosával.

Köszönetet mondunk mindazoknak, akik részt vettek ebben a vizsgálatban

A résztvevők segítettek a kutatóknak megválaszolni a diabéteszes makulaödémával (diabetic macular edema, DME) és a vizsgált gyógyszerrel - a „faricimabbal” - kapcsolatos fontos kérdéseket.

A vizsgálattal kapcsolatos legfontosabb információk

Ez a vizsgálat „kiterjesztett vizsgálat” volt. Ez azt jelenti, hogy a vizsgálatban részt vevő személyek korábban már befejeztek egy másik, ugyanarra a gyógyszerre vonatkozó vizsgálatot.

Miért végezték el ezt a vizsgálatot?

Ebben a kiterjesztett vizsgálatban az emberek a vizsgált gyógyszert (az úgynevezett „faricimabot”) kapták.

A kiterjesztett vizsgálatot annak tanulmányozására végezték, hogy mennyire biztonságos a faricimab injekció alkalmazása a szemben a DME hosszú távú kezeléseként.

Ki vett részt ebben a vizsgálatban?

A vizsgálatban 30 országból 1474 ember vett részt. Közülük 1464 betegnek adtak legalább 1 adag faricimabot, és szerepeltek a biztonsági eredményekben.

Mik voltak az eredmények?

A fő megfigyelések szerint a faricimabot jól tolerálták, és nem merültek fel újabb biztonságossági problémák.

A betegek kevesebb mint 1%-ánál (1464 betegből 2-nél) jelentkeztek olyan súlyos nemkívánatos hatások, amelyek feltehetően a faricimabbal állnak összefüggésben és érintik a szemet.

A betegek kevesebb mint 1%-ánál (1464 betegből 3-nál) jelentkeztek egyéb, feltehetően a faricimabbal összefüggő, nem szemészeti eredetű súlyos nemkívánatos hatások

1. Általános információk a vizsgálatról

Miért végezték el ezt a vizsgálatot?

Diabéteszes makulaödéma (DME) esetén a cukorbetegség miatt magas vércukorszint következtében folyadék szivárog a szem hátsó részének középső területére. Ez homályos látást okozhat.

Ezt a kiterjesztett vizsgálatot (az úgynevezett „RHONE-X” vagy „GR41987”) annak megállapítására végezték, hogy a „faricimab” nevű gyógyszer mennyire volt biztonságos a DME hosszú időn keresztül történő kezelése során. Ez a DME két korábbi vizsgálatának, melyeket ebben a dokumentumban „alapvizsgálatoknak” nevezünk, a meghosszabbítása volt.

Az alapvizsgálatok nevei „YOSEMITE” vagy „GR40349” és „RHINE” vagy „GR40398” voltak.

Milyen gyógyszert vizsgáltak?

A vizsgálat középpontjában a "faricimab" nevű gyógyszer állt.

- Úgy kell kiejteni, hogy "far-i-ci-mab".
- A faricimab úgy fejt ki hatását, hogy lelassítja az új erek növekedését a szemben, és csökkenti a vérerekből kiszivárgó folyadék mennyiségét.
- Ez azt jelentheti, hogy a faricimab-kezelés megelőzheti a szemkárosodást és védheti a látást a DME-ben szenvedő betegeknél.

Mit akartak kideríteni a kutatók?

Az alapvizsgálatokban a kutatók azt tanulmányozták, hogy a faricimab-kezelés különböző időzítései mennyire hatásosak és mennyire biztonságosak egy már alkalmazott gyógyszerhez (az úgynevezett "aflibercept") képest. Az emberek vagy 2 havonta kaptak faricimabot, vagy a látásuktól függően szükség szerint. Az alapvizsgálatok azt mutatták, hogy javult a DME-vel rendelkezők látása, lehetővé téve számukra, hogy hosszabb idő teljen el a kezelések között.

Ebben a kiterjesztett vizsgálatban az alapvizsgálatokban részt vevő betegek egy része hosszú távon folytatta a faricimab szedését, miután az alapvizsgálatok befejeződtek.

- A kutatók az alábbiakról kívántak információt gyűjteni:
 - Mennyire volt biztonságos a faricimab hosszú távon
 - Hogyan birkózott meg az emberek szervezete a faricimabbal hosszú távon

A kutatók a következő fő kérdésekre kerestek választ:

1. Hány embernél jelentkeztek szemészeti nemkívánatos hatások és mennyire voltak súlyosak?
2. Hány embernél jelentkeztek egyéb, a szemmel nem kapcsolatos nemkívánatos hatások, és mennyire voltak súlyosak?

Milyen típusú vizsgálat volt ez?

Ez a vizsgálat 2 "3. fázisú" vizsgálat kiterjesztése volt. Ez azt jelenti, hogy a faricimabot számos DME-ben szenvedő betegen vizsgálták a vizsgálat előtt. Ebben a vizsgálatban a DME-ben szenvedő betegek tovább szedték a faricimabot - ez azért volt, hogy megismerjék a faricimab hosszú távú biztonságosságát.

Mikor és hol került sor a vizsgálatra?

A vizsgálat 2020 augusztusában kezdődött, és 2023 októberében ért véget. Ezt az összefoglalót a vizsgálat befejezése után írták.

A vizsgálatot 318 vizsgálohelyen végezték el - 30 országban Amerikában, Ausztráliában, Ázsiában és Európában. Az országok:

Argentína, Ausztrália, Ausztria, Brazília, Bulgária, Kanada, Cseh Köztársaság, Dánia, Franciaország, Németország, Hongkong, Magyarország, Izrael, Olaszország, Japán, Mexikó, Peru, Lengyelország, Portugália, Oroszország, Szingapúr, Szlovákia, Dél-Korea, Spanyolország, Svájc, Tajvan, Thaiföld, Törökország, Egyesült Királyság és az Egyesült Államok. Az alábbi térkép azokat az országokat mutatja be, ahol a vizsgálatot végezték.

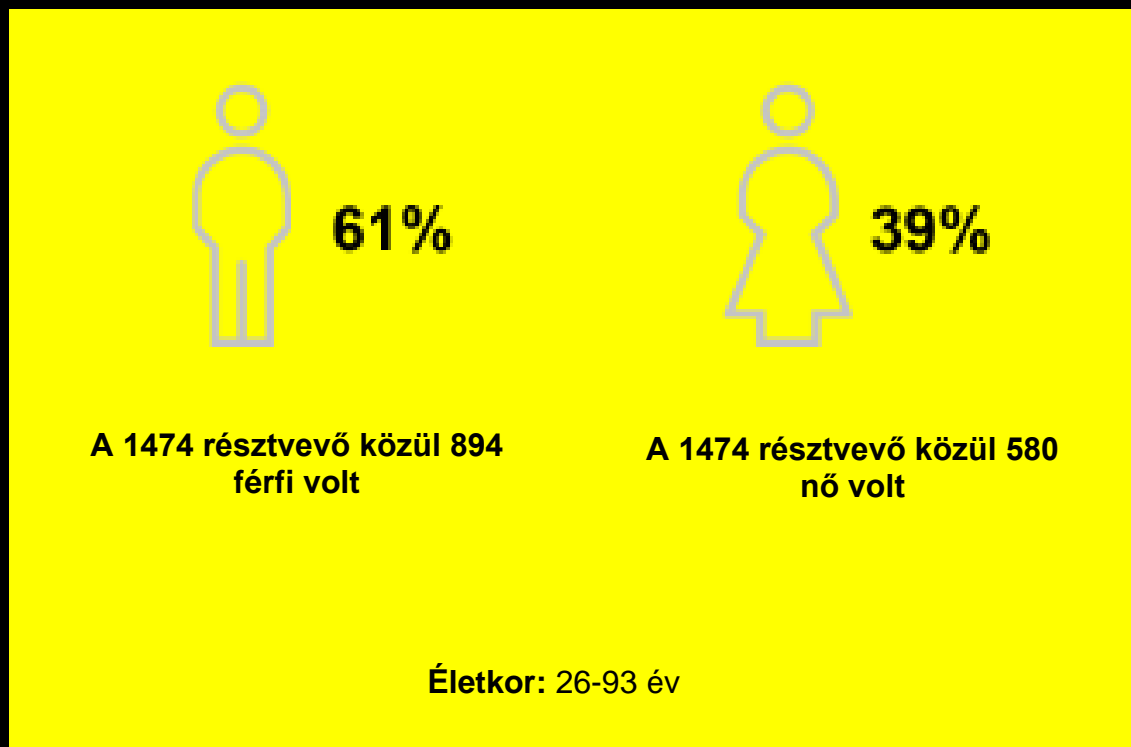


Ki vett részt ebben a vizsgálatban?

Ebben a vizsgálatban 1474 DME-ben szenvedő személy vett részt. A vizsgálatban résztvevők 26 és 93 éves kor közöttiek voltak.

Az 1474 főből 894 (61%) férfi és az 1474 főből 580 (39%) nő volt.

Az alábbiakban további tájékoztatást olvashat a résztvevőkről/



A vizsgálatban a következő személyek vehettek részt:

- Befejezték a faricimab vagy aflibercept kezelést a YOSEMITE vagy a RHINE alapvizsgálatban
- Nem hagyták abba a faricimab vagy aflibercept szedését az alapvizsgálatban

A vizsgálatban nem vehettek részt, akik:

- Más szembetegségben vagy más olyan betegségben szenvedtek, amely potenciálisan megakadályozhatta volna a faricimab alkalmazását
- Terhesek voltak vagy szoptattak

Mi történt a vizsgálat során?

Az alapvizsgálatok „maszkoltak” voltak. Ez azt jelenti, hogy az alapvizsgálatokban részt vevő személyek és a vizsgálóorvosok nem tudták, hogy az egyes vizitek alkalmával a betegek faricimab vagy aflibercept injekciót, illetve „álinjekciót” kaptak-e.

Egy áleljárás során egy üres fecskendő tompa végét használják (tű nélkül) mely az érzéstelenített szemhez nyomva valódi injekciót szimulál.

Ennek célja annak biztosítása volt, hogy a kezelés eredményét ne befolyásolja az, amit az emberek vártak. Az alapvizsgálatokat továbbra is maszkolták, amikor ez a kiterjesztett vizsgálat elkezdődött.

A kiterjesztett vizsgálat első 4 hónapja alatt, hogy az alapvizsgálatok maszkoltak maradjanak, az emberek havonta vettek részt kezelési viziteken és a következőket kapták:

- faricimab (a vizsgált gyógyszer) - a szembe adott injekcióként, vagy
- vagy álkezelés (egy olyan hatás nélküli eljárás, amely a vizsgált eljárást utánozza)

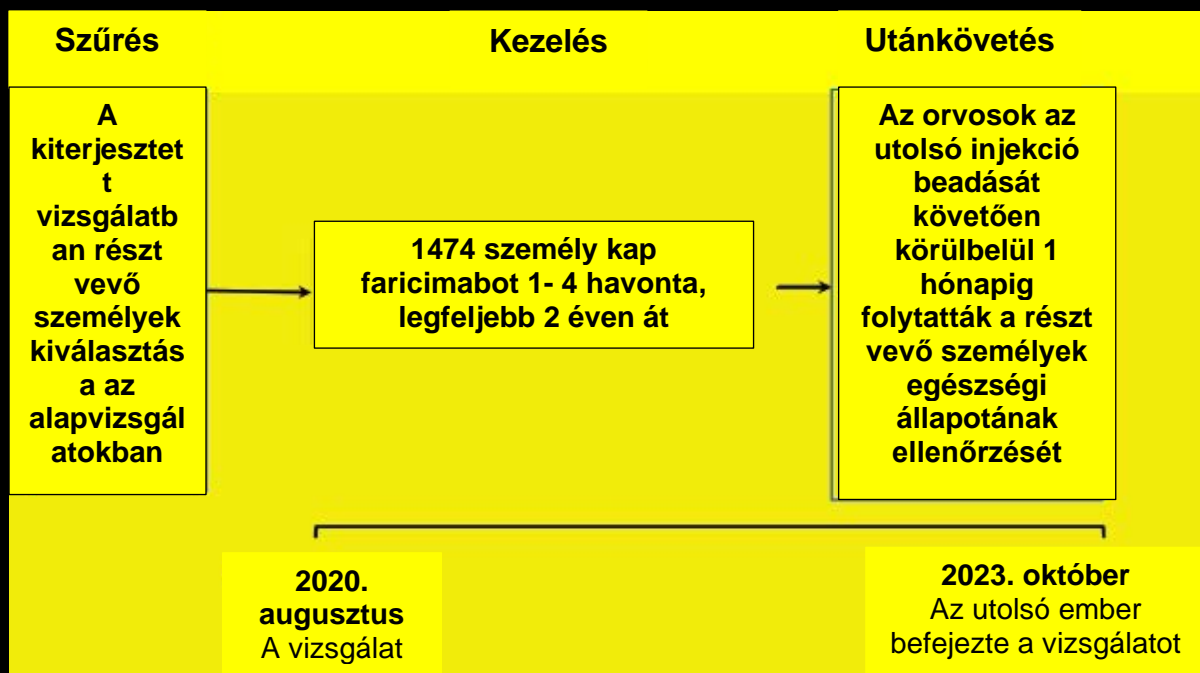
Az első négy hónap után a vizsgálat „nyílt címkés” lett. A nyílt címkés vizsgálat azt jelenti, hogy minden résztvevő, beleértve a vizsgálatban részt vevő személyeket és a vizsgálóorvost is, tudni fogja, hogy melyik vizsgálati kezelést alkalmazzák, és milyen gyakran.

A kezelést „személyre szabott kezelési időközönként” végezték. Ez azt jelenti, hogy két szemmérés alapján milyen gyakran határozták meg, hogy egy személynek milyen gyakorisággal kell injekciót adni. Ezek a mérések tájékoztatták az orvosokat a szem egészségéről és a személy látásáról.

A nyílt címkés időszakban mindenki kapott:

- faricimabot (a vizsgált gyógyszert) - szükség szerint 1- 4 havonta, szembe adott injekcióként

A vizsgálatban részt vevő betegek a kezeléseket legfeljebb 2 évig kapták. Amikor a vizsgálat befejeződött, a résztvevőket felkérték, hogy menjenek vissza a vizsgálóhelyükre egy újabb vizitre - hogy ellenőrizzék a szemük egészségi állapotát. Az alábbiakban további információkat olvashat a vizsgálat során történetekről.



Milyen eredményeket hozott a vizsgálat?

1. kérdés: Hány embernél jelentkeztek szemészeti nemkívánatos hatások és mennyire voltak súlyosak?

A nemkívánatos hatások olyan orvosi problémák (mint például a szédülés), amelyek a vizsgálat során jelentkeznek.

- Ezek azért szerepelnek ebben az összefoglalóban, mert a vizsgálatvezető úgy véli, hogy a nemkívánatos hatások a vizsgálatban alkalmazott kezelésekkel voltak összefüggésben.
- Nem minden vizsgálati résztvevőnél jelentkezett az összes nemkívánatos hatás.
- A nemkívánatos hatások lehetnek enyhék vagy nagyon súlyosak is, és személyenként eltérőek lehetnek.
- A nemkívánatos hatás akkor minősül "súlyosnak", ha az életre vagy a látásra veszélyes, kórházi ellátást igényel vagy tartós problémákat okoz.

- Fontos tisztában lenni azzal, hogy az itt jelentett nemkívánatos hatások ebből az egyetlen vizsgálatból származnak. Ezért az itt bemutatott nemkívánatos hatások eltérhetnek a más vizsgálatokban tapasztaltaktól.

A kutatók azt vizsgálták, hogy a faricimab hosszú távú alkalmazása mennyire biztonságos. Az eredményekbe bevonható betegek száma 1474-ből 1464 volt. Néhány beteget nem vontak be a vizsgálatba, mert nem részesültek faricimab-kezelésben (például úgy dönthettek, hogy a kiterjesztett vizsgálatot elhagyják a kezelés megkezdése előtt).

- 1464 beteg közül 29-nél (2%) jelentkeztek szemet érintő nemkívánatos hatások, ezek nem voltak súlyosnak tekinthetők, és feltehetően a faricimabbal függtek össze
- 1464 beteg közül 2-nél (kevesebb mint 1%) jelentkeztek súlyos nemkívánatos hatások, amelyek a szemet érintették, és feltehetően a faricimabbal függtek össze
 - o A vizsgálat végére mindkét beteg felépült

A jelentkező nemkívánatos hatások típusával kapcsolatos további információk az 5. pontban találhatóak.

2. kérdés: Hány embernél jelentkeztek egyéb, a szemmel nem kapcsolatos nemkívánatos hatások, és mennyire voltak súlyosak?

Néhány embernél olyan nemkívánatos hatások jelentkeztek, amelyek a szemeiken kívül más módon is befolyásolták őket:

- 1464 beteg közül 3-nál (kevesebb mint 1%) jelentkeztek a faricimabbal feltételezhetően összefüggésbe hozható, súlyos, nem szemészeti nemkívánatos hatások.
 - o Közülük 2 beteg a vizsgálat végére felépült vagy már lábadozott
 - o A vizsgálat végéig 1 beteg nem gyógyult meg

A jelentkező nemkívánatos hatások típusával kapcsolatos további információk az 5. pontban találhatóak.

Ebben a részben csak a vizsgálat legfontosabb eredményeit mutatjuk be. Az összes többi eredményről a jelen összefoglaló végén található weboldalakon tájékozódhat (lásd 8. pont).

Mik voltak a nem kívánt hatások?

A súlyos és gyakori nemkívánatos hatásokat az alábbi szakaszok sorolják fel.

Súlyos nemkívánatos hatások

A faricimab-kezeléssel kapcsolatos, a szemet vagy más testrészeket érintő súlyos nemkívánatos hatásokat az alábbi táblázatok mutatják. Néhányan egynél több nemkívánatos hatást tapasztaltak - ez azt jelenti, hogy több sorban is szerepelnek a táblázatban.

A vizsgálat során jelentett, a szemet érintő leggyakoribb súlyos nemkívánatos hatások	Faricimabot szedők (összesen 1464 beteg)
Gyulladás a szem belsejében, ami bőrpírt és fájdalmat okoz	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)
A szem színes része és a környező területek pirossága, duzzanata vagy fájdalma	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)

A vizsgálat során jelentett, a test más részeit érintő leggyakoribb súlyos nemkívánatos hatások	Faricimabot szedők (összesen 1464 beteg)
Szívpanaszok	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)
Szívelégtelenség	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)
A szokásosnál gyorsabban szívverés	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)
Sztrók	Kevesebb mint 1% (1464-ből 1)

A vizsgálatban senki nem halt meg olyan nemkívánatos hatások miatt, amelyek a faricimabbal állhattak összefüggésben.

A vizsgálat során egyesek úgy döntöttek, hogy abbahagyják a faricimab-kezelést a faricimabbal kapcsolatos nemkívánatos hatások miatt:

- 1464 betegből 2 (kevesebb mint 1%) hagyta abba a faricimab szedését.

Leggyakoribb nemkívánatos hatások

A faricimab-kezeléssel feltehetően összefüggő, leggyakoribb nemkívánatos hatásokat, amelyek a szemet érintették, a következő táblázat mutatja. Ezek a leggyakoribb nemkívánatos hatások, amelyek a kiterjesztett vizsgálatban több mint 2 beteget érintettek, és nem minősültek súlyosnak. Néhányan egynél több nemkívánatos hatást tapasztaltak - ez azt jelenti, hogy több sorban is szerepelnek a táblázatban.

A vizsgálat során jelentett, a szemet érintő leggyakoribb nem súlyos nemkívánatos hatások	Faricimabot szedők (összesen 1464 beteg)
A szokásosnál nagyobb nyomás a szemben	Kevesebb mint 1% (1464-ből 11)
A szem színes részének pirossága, duzzanata vagy fájdalma	Kevesebb mint 1% (1464-ből 4)
A szemlencse zavarossá vált	Kevesebb mint 1% (1464-ből 3)
A szemem belüli gélszerű anyag gyulladása	Kevesebb mint 1% (1464-ből 3)
Gyulladás a szem belsejében, ami bőrpírt és fájdalmat okoz	Kevesebb mint 1% (1464-ből 2)
Rendellenesség a szemem belüli gélszerű anyagban	Kevesebb mint 1% (1464-ből 2)
A szem színes része és a környező területek pirossága, duzzanata vagy fájdalma	Kevesebb mint 1% (1464-ből 2)

A vizsgálatban senkinél sem jelentkeztek faricimab-kezeléssel összefüggő és a szervezet más részeit érintő, nem súlyos nemkívánatos hatások.

Egyéb nemkívánatos hatások

Más nemkívánatos hatásokkal (amelyek a fenti fejezetekben nem szerepelnek) kapcsolatos információk megtalálhatók az összefoglaló végén található weboldalakon - lásd 8. pont.

Hogyan segített ez a vizsgálat a kutatásban?

Az itt bemutatott információk egyetlen vizsgálatból származnak, amely 1474 DME-ben szenvedő beteget vizsgált. Ezek az eredmények segítettek a kutatóknak többet megtudni a DME-ről és a faricimabról.

Egyetlen vizsgálat sem tudja megmutatni egy gyógyszer minden kockázatát és előnyét. Sok emberre és sok vizsgálatra van szükség ahhoz, hogy mindent megtudjunk, amit tudnunk kell. Ennek a vizsgálatnak az eredményei eltérhetnek az ugyanezzel a gyógyszerrel végzett más vizsgálatokétól.

- Ez azt jelenti, hogy nem szabad döntést hozni ezen egyetlen összefoglaló alapján – mielőtt kezelésére vonatkozó döntést hozna, mindig beszéljen az orvosával.

Vannak tervek más vizsgálatokra?

A faricimabbal jelenleg is zajlanak vizsgálatok, és további vizsgálatok elvégzését is tervezik.

Hol található további információkat?

Az alábbi weboldalakon talál bővebb információkat erről a vizsgálatról:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04432831>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2020-00-0402-29/results>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerability-41480.html>

Kihez fordulhatok, ha kérdésem van a vizsgálatról?

Ha az összefoglaló elolvasása után további kérdése van:

- Látogasson el a ForPatients platformra, és töltsse ki a kapcsolatfelvételi űrlapot [https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerabili-41480.h tml](https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerabili-41480.html)
- Forduljon a helyi Roche-iroda képviselőjéhez.

Ha részt vett ebben a vizsgálatban, és bármilyen kérdése van az eredményekkel kapcsolatban:

- Beszéljen a vizsgálóorvosával vagy a vizsgáló kórház vagy rendelő személyzetével.

Ha kérdései vannak a saját kezelésével kapcsolatban:

- Beszéljen a kezeléséért felelős orvossal.

Ki szervezte és finanszírozta a vizsgálatot?

Ezt a vizsgálatot az F. Hoffmann-La Roche Ltd vállalat szervezte és finanszírozta, amelynek a székhelye Baselben, Svájcban található.

A vizsgálat teljes címe és más azonosító adatai

A vizsgálat teljes címe a következő: "III. fázisú, multicentrikus, nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat a faricimab hosszú távú biztonságosságának és tolerálhatóságának értékelésére diabéteszes makulaödémás betegeknél".

A vizsgálat neve „RHONE-X”.

- A vizsgálat protokollszáma: GR41987.
- A vizsgálat ClinicalTrials.gov szerinti azonosítója: NCT04432831.
- A vizsgálat EudraCT-száma: 2020-000402-29.