

## Riepilogo dei risultati della sperimentazione clinica

### Studio di estensione per osservare la sicurezza a lungo termine di faricimab in persone con edema maculare diabetico

Per il titolo completo dello studio, vedere la Sezione 8 (pagina 14) alla fine del riepilogo.

## Informazioni su questo riepilogo

Si tratta di un riepilogo dei risultati di una sperimentazione clinica (chiamata “studio” in questo documento) redatto per:

- Membri del pubblico e
- persone che hanno partecipato allo studio.

Questo riepilogo si basa sulle informazioni note al momento della stesura.

Lo studio è iniziato ad agosto 2020 ed è terminato ad ottobre 2023. Questo riepilogo è stato redatto dopo la fine dello studio.

Nessun singolo studio può dirci tutto sui rischi e sui benefici di un farmaco. Ci vogliono molte persone in molti studi per scoprire tutto quello che c'è da sapere. I risultati di questo studio possono essere diversi da quelli di altri studi sullo stesso farmaco.

- Questo significa che non deve prendere decisioni basate su questo specifico riepilogo. Parli sempre con il Suo medico prima di prendere qualsiasi decisione in relazione al Suo trattamento.

### **Grazie alle persone che hanno partecipato a questo studio**

---

Le persone che hanno partecipato hanno aiutato i ricercatori a rispondere a domande importanti sull'edema maculare diabetico (Diabetic Macular Edema, DME) e sul farmaco oggetto di studio, “faricimab”.

## **Informazioni chiave su questo studio**

- Si trattava di uno “studio di estensione”. Ciò significa che le persone che vi hanno preso parte avevano in precedenza già completato un altro studio sullo stesso farmaco.

### **Perché è stato condotto questo studio?**

- In questo studio di estensione, ai partecipanti è stato somministrato il farmaco oggetto di studio (chiamato “faricimab”).
- Questo studio di estensione è stato condotto per verificare quanto sia sicura per le persone la somministrazione di iniezioni di faricimab nell’occhio come trattamento a lungo termine per il DME.

### **Chi ha partecipato a questo studio?**

- Questo studio ha coinvolto 1474 persone in 30 Paesi. Di queste, 1464 persone hanno ricevuto almeno 1 dose di faricimab e sono state incluse nei risultati sulla sicurezza.

### **Quali sono stati i risultati?**

- I risultati principali mostrano che faricimab è stato ben tollerato e non sono state identificate nuove problematiche di sicurezza.
- Meno dell’1% (2 su 1464) delle persone ha manifestato effetti indesiderati gravi che sono stati ritenuti correlati a faricimab e hanno interessato l’occhio.
- Meno dell’1% (3 su 1464) delle persone ha manifestato altri effetti indesiderati gravi non oculari che sono stati ritenuti correlati a faricimab

## 1. Informazioni generali su questo studio

### **Perché è stato condotto questo studio?**

---

L'edema maculare diabetico (DME) è una condizione in cui gli alti livelli di zucchero nel sangue causati dal diabete portano a una fuoriuscita di liquido nell'area centrale della parte posteriore dell'occhio. Questo può causare visione annebbiata.

Questo studio di estensione (chiamato "RHONE-X" o "GR41987") è stato condotto per scoprire quanto fosse sicuro un farmaco per il trattamento del DME chiamato "faricimab" quando somministrato per un lungo periodo di tempo. Si trattava di un'estensione di 2 studi precedenti sul DME, chiamati "studi principali" in questo documento.

I nomi degli studi principali erano "YOSEMITE" o "GR40349" e "RHINE" o "GR40398".

### **Qual era il farmaco oggetto dello studio?**

---

Questo studio si è concentrato su un farmaco chiamato "faricimab".

- Si pronuncia "fa-ri-ci-mab".
- Faricimab agisce rallentando la crescita di nuovi vasi sanguigni nell'occhio e riducendo la quantità di liquido che fuoriesce dai vasi sanguigni.
- Di conseguenza il trattamento con faricimab può prevenire danni agli occhi e proteggere la vista nelle persone affette da DME.

### **Cosa volevano scoprire i ricercatori?**

---

Negli studi principali, i ricercatori hanno esaminato l'efficacia delle diverse tempistiche di trattamento con faricimab e la loro sicurezza rispetto a un farmaco esistente (chiamato "aflibercept"). I partecipanti hanno ricevuto faricimab ogni 2 mesi, o quando ne avevano bisogno, a seconda delle condizioni della vista. Gli studi principali hanno

---

dimostrato un miglioramento della vista nei partecipanti affetti da DME, che ha consentito loro di prolungare l'intervallo tra i trattamenti.

In questo studio di estensione, alcune delle persone che avevano preso parte agli studi principali hanno continuato ad assumere faricimab a lungo termine, una volta terminati gli studi principali.

- I ricercatori desideravano raccogliere informazioni su:
  - La sicurezza a lungo termine di faricimab
  - La reazione dell'organismo dei partecipanti a faricimab assunto a lungo termine

Le principali domande a cui i ricercatori desideravano rispondere erano:

1. Quante persone hanno manifestato effetti indesiderati oculari e quanto gravi?
2. Quante persone hanno manifestato altri effetti indesiderati non oculari e quanto gravi?

### **Di che tipo di studio si trattava?**

---

Questo studio era un'estensione di 2 studi di "Fase 3". Ciò significa che faricimab era stato testato in un certo numero di persone affette da DME prima di questo studio. In questo studio, le persone con DME hanno continuato ad assumere faricimab, per scoprire la sicurezza a lungo termine del farmaco.

### **Quando e dove si è svolto lo studio?**

---

Lo studio è iniziato ad agosto 2020 ed è terminato ad ottobre 2023. Questo riepilogo è stato redatto dopo la fine dello studio.

Lo studio si è svolto presso 318 centri di studio, in 30 Paesi nelle Americhe, in Australia, in Asia e in Europa. I Paesi sono stati

Argentina, Australia, Austria, Brasile, Bulgaria, Canada, Danimarca, Francia, Germania, Hong Kong, Ungheria, Israele, Italia, Giappone, Messico, Perù, Polonia, Portogallo, Repubblica Ceca, Russia, Singapore, Slovacchia, Corea del Sud, Spagna, Svizzera, Taiwan, Thailandia, Turchia, Regno Unito e Stati Uniti. La mappa seguente mostra i Paesi in cui si è svolto questo studio.

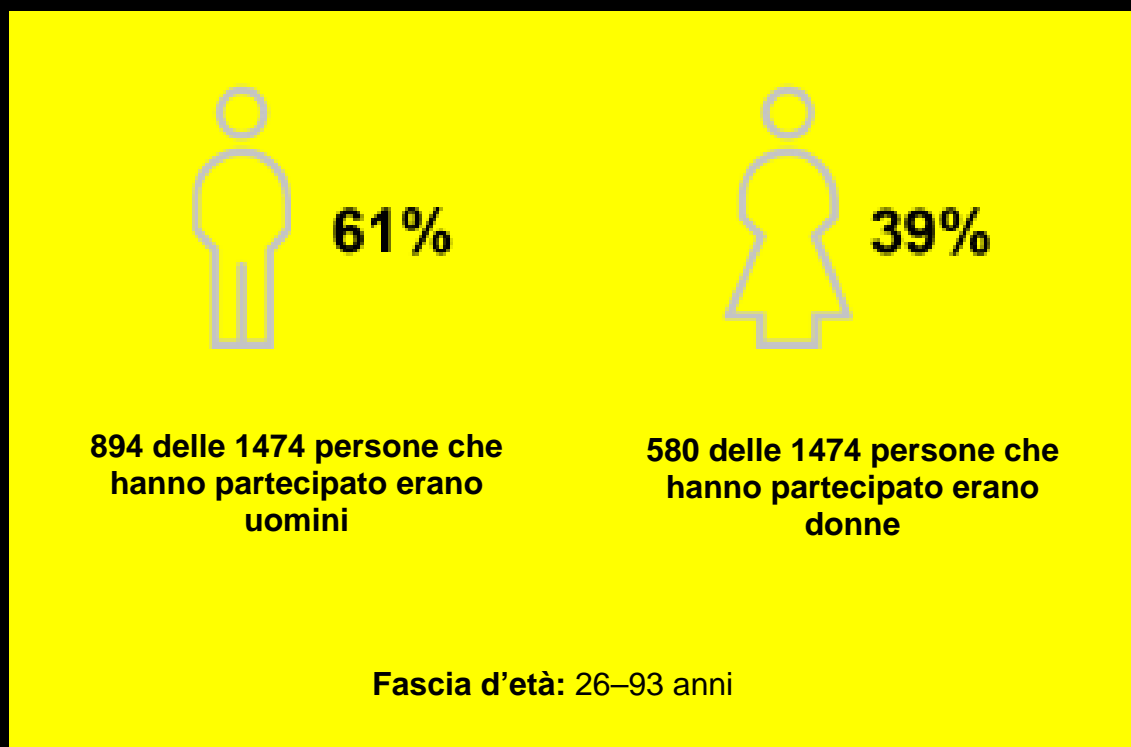


## 2. Chi ha partecipato a questo studio?

Allo studio hanno partecipato 1474 persone affette da DME. Le persone che hanno preso parte allo studio avevano un'età compresa tra 26 e 93 anni.

894 su 1474 partecipanti (61%) erano uomini e 580 su 1474 (39%) erano donne.

Di seguito sono riportate ulteriori informazioni sulle persone che hanno partecipato/



Le persone potevano partecipare allo studio se:

- Avevano completato il trattamento con faricimab o aflibercept in uno degli studi principali YOSEMITE o RHINE
- Non avevano interrotto l'assunzione di faricimab o aflibercept durante lo studio principale

Le persone non potevano prendere parte allo studio se:

- Presentavano un'altra patologia oculare o un'altra patologia che potenzialmente avrebbe impedito loro di ricevere faricimab
- Erano in gravidanza o in allattamento

### 3. Cosa è accaduto durante lo studio?

Gli studi principali erano "in cieco". Ciò significa che i partecipanti degli studi principali e i medici dello studio non sapevano se alle persone fosse stata somministrata un'iniezione di faricimab o di aflibercept oppure un'iniezione "fittizia" a ogni visita.

Una procedura fittizia utilizza l'estremità smussata di una siringa vuota (senza ago) e la preme contro l'occhio anestetizzato per simulare

un'iniezione reale.

Questo per garantire che i risultati del trattamento non fossero influenzati da ciò che le persone si aspettavano accadesse. Gli studi principali erano ancora in cieco all'inizio di questo studio di estensione.

Durante i primi 4 mesi dello studio di estensione, per mantenere in cieco gli studi principali, le persone hanno partecipato a visite di trattamento mensili e hanno ricevuto:

- Faricimab (il farmaco oggetto di studio), mediante iniezione nell'occhio, oppure
- Trattamento fittizio (una procedura senza effetto che imita la procedura studiata)

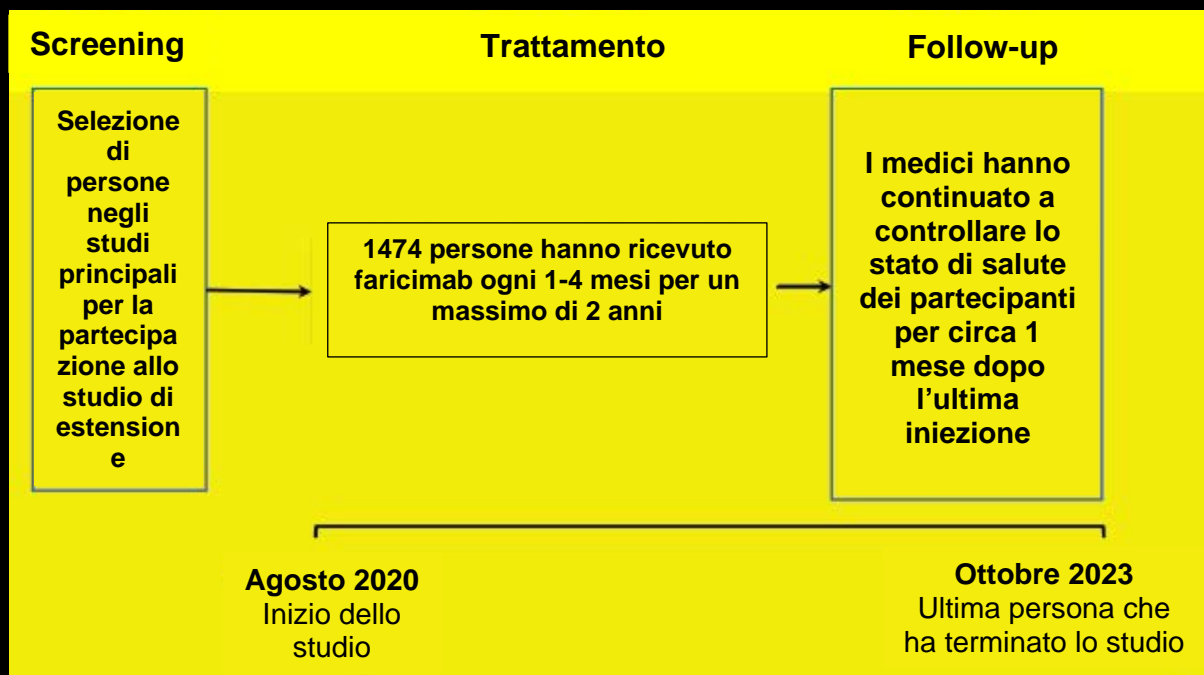
Dopo i primi 4 mesi, lo studio era "in aperto". Ciò significa che tutti i soggetti coinvolti, compresi i partecipanti e il medico dello studio, sanno quale trattamento dello studio viene somministrato e con quale frequenza.

Il trattamento è stato somministrato con un "intervallo terapeutico personalizzato". Ciò significa che la frequenza con cui una persona doveva ricevere l'iniezione è stata decisa sulla base di due misurazioni oculari. Queste misurazioni hanno fornito ai medici informazioni sulle condizioni dell'occhio e sulla vista del paziente.

Nel periodo in aperto, a tutti è stato somministrato:

- Faricimab (il farmaco oggetto di studio) come iniezione nell'occhio, ogni 1-4 mesi, secondo necessità

I partecipanti allo studio hanno assunto i trattamenti per un periodo massimo di 2 anni. Quando lo studio è terminato, ai partecipanti è stato chiesto di tornare al loro centro di studio per un'ulteriore visita in modo da controllare la salute generale degli occhi. Fare riferimento al paragrafo seguente per ulteriori informazioni su quanto è accaduto nello studio.



#### 4. Quali sono stati i risultati dello studio?

##### **Domanda 1: Quante persone hanno manifestato effetti indesiderati oculari e quanto gravi?**

Gli effetti indesiderati sono problemi medici (ad esempio sensazione di capogiro) che si verificano durante lo studio.

- Sono descritti in questo riepilogo perché il medico dello studio ritiene che gli effetti indesiderati siano correlati ai trattamenti dello studio.
- Non tutte le persone in questo studio hanno manifestato tutti gli effetti indesiderati.
- Gli effetti indesiderati possono essere da lievi a molto gravi e possono essere diversi da persona a persona.
- Un effetto indesiderato è considerato “grave” quando costituisce un pericolo per la vita o la vista, necessita di cure ospedaliere o causa problemi duraturi.



- 
- È importante essere consapevoli del fatto che gli effetti indesiderati qui riportati provengono da questo singolo studio. Pertanto, gli effetti indesiderati qui riportati possono essere diversi da quelli osservati in altri studi.

I ricercatori hanno esaminato la sicurezza del trattamento a lungo termine con faricimab. Il numero di persone nello studio risultate idonee era di 1464 su 1474. Alcune persone non sono state incluse perché non hanno ricevuto alcun trattamento con faricimab (ad esempio, potrebbero aver deciso di abbandonare lo studio di estensione prima della somministrazione del trattamento).

- 29 persone su 1464 (2%) hanno manifestato effetti indesiderati a carico dell'occhio che non sono stati considerati gravi e sono stati ritenuti correlati a faricimab
- 2 persone su 1464 (meno dell'1%) hanno manifestato effetti indesiderati gravi a carico dell'occhio che sono stati ritenuti correlati a faricimab
  - o Entrambe le persone si erano riprese al momento della fine dello studio

Ulteriori informazioni sul tipo di effetti indesiderati manifestati dalle persone si trovano nella Sezione 5.

## **Domanda 2: Quante persone hanno manifestato altri effetti indesiderati non oculari e quanto gravi?**

---

Alcune persone hanno avuto effetti indesiderati che si sono manifestati in altri modi, senza coinvolgere l'occhio:

- 3 persone su 1464 (meno dell'1%) hanno manifestato effetti indesiderati non oculari gravi che sono stati ritenuti correlati a faricimab.
  - o 2 di queste persone si erano ristabilite o si stavano riprendendo al momento della fine dello studio
  - o 1 persona non si era ristabilita al momento della fine dello studio

Ulteriori informazioni sul tipo di effetti indesiderati manifestati dalle persone si trovano nella Sezione 5.

Questa sezione mostra solo i risultati principali di questo studio. Le informazioni su tutti gli altri risultati sono reperibili sui siti Web indicati alla fine di questo riepilogo (vedere sezione 8).

## 5. Quali sono stati gli effetti indesiderati?

Gli effetti indesiderati gravi e comuni sono elencati nelle sezioni seguenti.

### **Effetti indesiderati gravi**

---

Nelle seguenti tabelle sono riportati gli effetti indesiderati gravi correlati al trattamento con faricimab che hanno interessato l'occhio o altre parti del corpo. Alcune persone hanno manifestato più di un effetto indesiderato, pertanto tali effetti sono riportati in più di una riga nella tabella.

<b>Effetti indesiderati gravi più comuni segnalati in questo studio che hanno interessato l'occhio</b>	<b>Persone che hanno assunto faricimab (1464)</b>
Infiammazione all'interno dell'occhio che origina dall'uvea e causa arrossamento e	Meno dell'1% (1 su 1464)
Arrossamento, gonfiore o dolore della parte colorata dell'occhio e delle aree adiacenti	Meno dell'1% (1 su 1464)

<b>Effetti indesiderati gravi più comuni segnalati in questo studio che hanno interessato altre parti del corpo</b>	<b>Persone che hanno assunto faricimab (1464)</b>
Disturbi cardiaci	Meno dell'1% (su 1.464)
Insufficienza cardiaca	Meno dell'1% (1 su 1464)
Battito cardiaco accelerato	Meno dell'1% (1 su 1464)
Ictus	Meno dell'1% (1 su 1464)

Nessuno dei partecipanti allo studio è deceduto a causa di effetti indesiderati potenzialmente correlati a faricimab.

Durante lo studio, alcune persone hanno deciso di interrompere il trattamento con faricimab a causa di effetti indesiderati correlati a faricimab:

- 2 persone su 1464 (meno dell'1%) hanno interrotto l'assunzione di faricimab.

## Effetti indesiderati più comuni

Gli effetti indesiderati più comuni ritenuti correlati al trattamento con faricimab che hanno colpito l'occhio sono mostrati nella tabella seguente. Questi sono gli effetti indesiderati più comuni, che hanno interessato più di 2 persone nello studio di estensione e non sono stati considerati gravi. Alcune persone hanno manifestato più di un effetto indesiderato, pertanto tali effetti sono riportati in più di una riga nella tabella.

<b>Effetti indesiderati non gravi più comuni segnalati in questo studio che hanno interessato l'occhio</b>	<b>Persone che hanno assunto faricimab (1464</b>
Aumento della pressione oculare	Meno dell'1% (11 su 1464)
Arrossamento, gonfiore o dolore della parte colorata dell'occhio	Meno dell'1% (4 su 1464)
Offuscamento del cristallino dell'occhio	Meno dell'1% (3 su 1464)
Infiammazione della sostanza gelatinosa all'interno dell'occhio	Meno dell'1% (3 su 1464)
Infiammazione all'interno dell'occhio che origina dall'uvea e causa arrossamento e	Meno dell'1% (2 su 1464)
Disturbo che coinvolge la sostanza gelatinosa all'interno dell'occhio	Meno dell'1% (2 su 1464)
Arrossamento, gonfiore o dolore della parte colorata dell'occhio e delle aree adiacenti	Meno dell'1% (2 su 1464)

Nessuno dei partecipanti allo studio ha manifestato effetti indesiderati non gravi correlati al trattamento con faricimab che abbiano interessato altre parti del corpo.

### **Altri effetti indesiderati**

---

Le informazioni su altri effetti indesiderati (non mostrati nelle sezioni precedenti) sono reperibili sui siti Web elencati alla fine di questo riepilogo (vedere la Sezione 8).

## 6. In che modo questo studio ha contribuito alla ricerca?

Le informazioni presentate in questo documento provengono da un singolo studio su 1474 persone affette da DME. Questi risultati hanno aiutato i ricercatori a saperne di più su DME e faricimab.

Nessun singolo studio può dirci tutto sui rischi e sui benefici di un farmaco. Ci vogliono molte persone in molti studi per scoprire tutto quello che c'è da sapere. I risultati di questo studio possono essere diversi da quelli di altri studi sullo stesso farmaco.

- Ciò significa che non deve prendere decisioni basate su questo specifico riepilogo. Parli sempre con il Suo medico prima di prendere qualsiasi decisione in relazione al Suo trattamento.

## 7. Sono previsti altri studi?

Sono ancora in corso studi con faricimab e sono previsti ulteriori studi.

## 8. Dove posso reperire ulteriori informazioni?

Può trovare maggiori informazioni su questo studio sui siti Web indicati qui sotto:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04432831>
- [https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2020-00\\_0402-29/results](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-tolerabili-41480.html>

## **Chi posso contattare se devo porre alcune domande su questo studio?**

---

Per qualsiasi domanda dopo aver letto questo riepilogo:

- Visiti la piattaforma ForPatients e compili il modulo di contatto:  
<https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerabili-41480.html>
- Contatti un rappresentante presso la sede locale di Roche.

Se ha partecipato a questo studio e ha delle domande sui risultati:

- Parli con il medico dello studio o il personale presso l'ospedale o la clinica dello studio.

Se ha domande sul Suo trattamento:

- Parli con il medico responsabile del Suo trattamento.

## **Chi ha organizzato e finanziato questo studio?**

---

Questo studio è stato organizzato e finanziato da F. Hoffmann-La Roche Ltd, che ha sede a Basilea, Svizzera.

## **Titolo completo dello studio e altre informazioni identificative**

---

Il titolo completo di questo studio è: “Studio di estensione di fase III, multicentrico, in aperto per valutare la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di faricimab in pazienti con edema maculare diabetico”.

Lo studio è noto come “RHONE-X”.

- Il numero di protocollo per questo studio è: GR41987.
- L'identificativo di ClinicalTrials.gov per questo studio è: NCT04432831.
- Il numero EudraCT per questo studio è: 2020-000402-29.