

임상시험 결과 요약서

당뇨성 황반부종 환자를 대상으로 파리시맵의 장기적 안전성을 조사하기 위한 연장 연구

시험의 전체 제목은 요약서의 끝부분에 있는 8 항(14 페이지)을
참조하십시오.

본 요약서 소개

본 문서는 임상시험(본 문서에서 ‘시험’으로 지칭) 결과의 요약서로
다음과 같은 사람들을 위해 작성되었습니다.

- 공공 당국 관계자 및
- 본 시험에 참여한 사람.

본 요약서는 작성 당시 알려진 정보를 기반으로 합니다.

본 시험은 2020년 8월에 시작되어 2023년 10월에 완료되었습니다.
본 요약서는 시험 종료 후 작성되었습니다.

단 하나의 시험으로는 약물의 위험성과 유익성에 대해 모든 것을 알 수
없습니다. 알아야 할 모든 것을 확인하려면 많은 시험에 대규모 인원이
참여해야 합니다. 본 시험의 결과는 동일한 약물을 이용한 다른
시험들과 다를 수 있습니다.

- 이는 본 요약서 하나만을 근거로 결정을 내려서는 안 된다는 것을
의미하므로 투여에 대해 결정하기 전에 항상 담당 의사와
상담하십시오.

본 시험에 참여한 분들에게 감사드립니다.

참여자들은 당뇨병성 황반부종(DME)과 연구된 약물 '파리시맵'에 대한
중요한 질문에 답하는 데 연구자들을 도왔습니다.

본 시험에 관한 주요 정보

- 본 시험은 '연장 연구'였습니다. 이는 참여자들이 이전에 이미 동일한 약제를 대상으로 한 다른 연구를 완료한 상태였다는 것을 의미합니다.

본 시험이 수행된 이유는 무엇입니까?

- 본 연장 연구에서는, 대상자에게 시험하는 약물을 투여했습니다(일명 '파리시맵').
- 본 연장 연구는 DME 의 장기 투여로써 파리시맵 주사를 눈에 투여하는 것이 얼마나 안전한지 조사하기 위해 수행되었습니다.

누가 본 시험에 참여하였습니까?

- 본 시험에는 30 개국 1474 명이 참여하였습니다. 이 중 1464 명이 최소 1 회 이상 파리시맵을 투여받았으며, 이들은 안전성 결과에 포함되었습니다.

결과는 어떠했습니까?

- 주요 연구 결과는 파리시맵의 내약성이 양호하며, 새로운 안전성 문제는 발견되지 않았다는 것입니다.
- 1% 미만(1464 명 중 2 명)이 파리시맵과 관련이 있는 것으로 생각되는 눈에 영향을 미치는 중대한 원치 않는 영향을 받았습니다.
- 1% 미만(1464 명 중 3 명)이 파리시맵과 관련이 있는 것으로 생각되는 기타, 눈 관련 중대하지 않은 원치 않는 영향을 경험했습니다

1. 본 시험에 관한 일반 정보

본 시험이 수행된 이유는 무엇입니까?

당뇨병성 황반부종(Diabetic macular oedema, DME)은 당뇨병으로 인한 높은 혈당 수치 때문에 안구 뒤쪽의 중심 부위로 체액이 누출되는 질환입니다. 이로 인해 시야가 흐려질 수 있습니다.

본 연장 연구(일명 'RHONE-X' 또는 'GR41987')는 장기간 투여 시 '파리시맙'이라는 약물이 DME 투여에 얼마나 안전한지를 알아보기 위해 수행되었습니다. 이는 본 문서에서 '모임상시험'이라고 불리는 DME의 이전 연구 2개의 연장선이었습니다.

모임상시험 이름은 'YOSEMITE' 또는 'GR40349'와 'RHINE' 또는 'GR40398'이었습니다.

연구 중인 약물은 무엇입니까?

본 시험의 초점은 '파리시맙'이라는 약품이었습니다.

- 'far-ih-see-mab'으로 발음합니다.
- 파리시맙은 눈 속 신생혈관의 성장을 늦추고 혈관에서 새어 나오는 체액의 양을 줄이는 방식으로 작용합니다.
- 이는 파리시맙 투여가 DME 환자의 눈 손상을 방지하고 시력을 보호할 수 있음을 의미할 수 있습니다.

연구자들이 알아내고자 한 것은 무엇입니까?

모임상시험에서, 연구자들은 파리시맙 투여의 시기가 얼마나 다르게 작용하는지 및 기존의 약물(일명 '애플리버셉트')과 비교하여 얼마나 안전한지를 조사했습니다. 참여자는 2개월마다 또는 시력에 따라 필요 시 파리시맙을 투여받았습니다. 모임상시험에서는 DME 환자에서 시력이 향상되어 투여 사이에 시력이 더 오래 지속될 수 있음을 보여주었습니다.

본 연장 연구에서는, 모임상시험의 참여자들 중 일부가 모임상시험 종료 후에도 장기간 파리시맷 복용을 지속했습니다.

- 연구자들은 다음 사항에 대한 정보를 수집하고자 했습니다:
 - 장기적 파리시맷의 안전성
 - 장기적 파리시맷에 대한 인체의 반응

연구자들이 답을 찾고자 했던 주요 질문은 다음과 같았습니다.

1. 얼마나 많은 참여자가 눈 관련 원치 않는 영향을 경험했고 얼마나 심각했습니까?
2. 얼마나 많은 사람들이 다른 눈과 관련되지 않은 원치 않는 영향을 경험했고 얼마나 심각했습니까?

본 시험은 어떤 종류의 시험이었습니까?

본 시험은 2건의 '제 3상' 시험의 연장입니다. 이는 본 시험 전에 다수의 DME 환자에서 파리시맷을 시험한 적이 있음을 의미합니다. 본 시험에서, DME 환자들은 파리시맷을 계속 복용했으며, 이것은 파리시맷의 장기적인 안전에 대해 알아내기 위한 것이었습니다.

본 시험은 언제, 어디서 수행되었습니까?

본 시험은 2020년 8월에 시작되어 2023년 10월에 완료되었습니다. 본 요약서는 시험 종료 후 작성되었습니다.

본 시험은 미국, 호주, 아시아 및 유럽의 30개국에 걸쳐 있는 318개의 시험기관에서 실시되었습니다. 해당 국가는

아르헨티나, 호주, 오스트리아, 브라질, 불가리아, 캐나다, 체코, 덴마크, 프랑스, 독일, 홍콩, 헝가리, 이스라엘, 이탈리아, 일본, 멕시코, 페루, 폴란드, 포르투갈, 러시아, 싱가포르, 슬로바키아, 한국, 스페인, 스위스, 대만, 태국, 튀르키예, 영국 및 미국이었습니다. 다음 지도는 본 시험이 실시된 국가를 나타내고 있습니다.



2. 누가 본 시험에 참여하였습니까?

본 시험에는 1474 명의 DME 환자가 참여했습니다. 본 시험에 참여한 사람들은 26 세에서 93 세 사이였습니다.

1474 명 중 894 명(61%)이 남성이었으며, 1474 명 중 580 명(39%)이 여성이었습니다.

참여한 사람들에 대한 자세한 정보는 아래에 나와 있습니다.



61%

참여자 1474 명 중 894 명이
남성



39%

참여자 1474 명 중 580 명이
여성

연령 범위: 26~93 세

다음에 해당되는 사람들이 시험에 참여할 수 있었습니다.

- 모임상시험 YOSEMITE 또는 RHINE 에서 파리시맙 또는 애플리버셉트 투여를 완료한 경우
- 모임상시험 기간 동안 파리시맙 또는 애플리버셉트 복용을 중단하지 않은 경우

다음에 해당되는 사람들은 시험에 참여할 수 없었습니다.

- 파리시맙 투여를 잠재적으로 방해할 다른 눈 질환 또는 다른 의학적 질환이 있는 경우
- 임신 중 또는 모유수유 중인 경우

3. 시험 기간 동안 어떤 일을 하였습니까?

모임상시험은 '눈가림'되었습니다. 이는 모임상시험에 참여하고 있는 사람들과 임상시험 의사가 각 방문 시 파리시맙 주사 또는 애플리버셉트 투여 또는 '가짜' 주사 중 어떤 것을 투여받았는지 알지 못했음을 의미합니다.

가짜 시술은 빈 주사기의 뭉툭한 끝(바늘 없이)을 사용하여 마취된 눈에 대고 눌러 실제 주사를 시뮬레이션합니다. 이는 투여 결과가 사람들의 예상에 영향을 받지 않도록 하기 위해 실시되었습니다. 이 연장 연구가 시작되었을 때 모임상시험은 여전히 눈가림되었습니다.

연장 연구의 첫 4개월 동안, 모임상시험을 눈가림 상태로 유지하기 위해 참여자들은 매월 투여 방문에 참석하고 다음 중 하나를 투여받았습니다.

- 파리시맵(시험 중인 약물)을 눈에 주사 또는
- 가짜(연구 중인 절차를 모방하는 효과가 없는 절차)

첫 4개월 후, 본 시험은 '공개' 시험이었습니다. 공개 시험은 시험대상자와 임상시험 의사를 포함한 모든 관련자가 참여자가 어떤 시험 요법을 얼마나 자주 투여받았는지 알게 된다는 의미입니다.

투여는 '개인 맞춤형 투여 간격'에 따라 이루어졌습니다. 이는 두 번의 눈 측정에 기반하여 얼마나 자주 주사를 맞아야 하는지 결정함을 의미합니다. 이러한 측정은 의사에게 눈의 건강 상태 및 참여자의 시력에 대한 정보를 제공했습니다.

공개 기간 동안, 모든 참여자는 다음을 투여 받았습니다.

- 필요에 따라 1~4개월마다 파리시맵(연구 중인 약물)을 눈에 주사

본 시험의 참여자들은 최대 2년 동안 투여 받았습니다. 시험이 끝나면 참여자들은 전반적인 눈 건강 상태를 점검하기 위한 추가 방문을 위해 시험기관에 내원하도록 요청받았습니다. 시험이 어떻게 진행되었는지 아래에 자세히 나와 있습니다.

-
- 본 문서에서 보고된 원치 않는 영향이 본 단일 시험에서 나타난 것임을 유념해야 합니다. 따라서 여기에 나와 있는 부작용은 다른 시험에서 관찰된 원치 않는 영향과 다를 수 있습니다.

연구진은 파리시맙 장기 투여가 얼마나 안전한지를 조사했습니다. 본 시험에 포함될 수 있는 시험 참여자의 수는 **1474** 명 중 **1464** 명이었습니다. 일부 참여자는 파리시맙 투여를 받지 않았기 때문에 포함되지 않았습니다(예를 들어, 투여를 받기 전에 연장 연구를 중단하기로 결정했을 수 있음).

- **1464** 명 중 **29** 명(**2%**)이 중대하지 않고 파리시맙과 관련이 있는 것으로 생각되는 눈에 영향을 준 원치 않는 영향을 경험
- **1464** 명 중 **2** 명(**1% 미만**)이 파리시맙과 관련이 있는 것으로 생각되는 눈에 영향을 준 중대한 원치 않는 영향을 경험
 - **2** 명 모두 시험 종료 시까지 회복됨

참여자가 겪은 원치 않는 영향의 유형에 대한 자세한 내용은 5 항에 나와 있습니다.

질문 2: 눈과 관련이 없는 다른 원치 않는 효과를 경험한 사람은 얼마나 많았으며 얼마나 심각했습니까?

일부 사람들은 눈 이외의 다른 부분에 원치 않는 영향을 경험하기도 했습니다.

- **1464** 명 중 **3** 명(**1% 미만**)이 파리시맙과 관련이 있는 것으로 생각되는 중대한 눈과 관련되지 않은 원치 않는 영향을 경험했습니다.
 - 이 중 **2** 명은 시험 종료 시까지 회복되었거나 회복 중이었음
 - **1** 명은 연구가 시험 종료 시까지 회복되지 않음

참여자가 겪은 원치 않는 영향의 유형에 대한 자세한 내용은 5 항에 나와 있습니다.

이 항에서는 본 시험의 주요 결과만을 보여줍니다. 다른 모든 결과에 대한 정보는 본 요약서의 끝부분에 있는 웹사이트에서 확인할 수 있습니다(8 항을 참조하십시오).

5. 원치 않는 영향은 무엇이었습니까?

중대하고 흔한 원치 않는 영향은 다음 항에 나열되어 있습니다.

중대한 원치 않는 영향

다음 표에서는 눈 또는 다른 신체 부위에 영향을 미친 파리시맙 투여와 관련된 원치 않는 중대한 영향을 보여 줍니다. 어떤 참여자들은 원치 않는 영향을 한 개를 초과하여 경험했는데, 이는 표에서 한 개를 초과한 행에 포함되었다는 의미입니다.

본 연구에서 눈에 영향을 미친 가장 흔한 중대한 원치 않는 영향	파리시맙을 복용한 참여자(총 1464 명)
눈 안쪽의 포도막에서 발생한 염증으로 인해 눈이 붉어지고 통증이 유발되는 상태	1% 미만 (1464 명 중 1 명)
눈의 유색 부위 및 주변 부위의 발적, 부기 또는 통증	1% 미만 (1464 명 중 1 명)

이 연구에서 신체의 다른 부위에 영향을 미치는 가장 흔한 심각한 원치 않는 영향

파리시맷을 복용한 참여자(총 1464 명)

심장 불편감	1% 미만 (1464 명 중 1 명)
심부전	1% 미만 (1464 명 중 1 명)
평소보다 빠른 심장 박동	1% 미만 (1464 명 중 1 명)
뇌졸중	1% 미만 (1464 명 중 1 명)

파리시맷과 관련이 있을 수 있는 원치 않는 효과로 인해 시험 중 사망자는 없었습니다.

시험 기간 동안, 일부 참여자는 파리시맷과 관련된 원치 않는 영향 때문에 파리시맷 투여를 중단하기로 결정했습니다.

- 1464 명 중 2 명(1% 미만)이 파리시맷 복용을 중단하였습니다.

가장 흔한 원치 않는 영향

눈에 영향을 미친 파리시맷 투여와 관련이 있는 것으로 생각되는 가장 흔한 원치 않는 영향은 다음 표에 나와 있습니다. 이는 연장 연구에서 2 명을 초과하는 참여자에게 영향을 미친 가장 흔한 원치 않는 영향이며, 중대하다고 간주되지 않았습니다. 어떤 참여자들은 원치 않는 영향이 한 개를 초과하여 발생했는데, 이는 표에서 한 개를 초과한 행에 포함되었다는 의미입니다.

본 연구에서 눈에 영향을 미친 가장 흔한 중대하지 않은 원치 않는 영향	파리시마를 복용한 참여자(총 1464 명)
정상시보다 높은 안압	1% 미만 (1464 명 중 11 명)
눈의 유색 부위의 발적, 부기 또는 통증	1% 미만 (1464 명 중 4 명)
눈의 수정체가 혼탁해짐	1% 미만 (1464 명 중 3 명)
눈 안쪽 젤과 같은 물질의 염증	1% 미만 (1464 명 중 3 명)
눈 안쪽의 포도막에서 발생한 염증으로 인해 눈이 붉어지고 통증이 유발되는 상태	1% 미만 (1464 명 중 2 명)
눈 안쪽 젤과 같은 물질과 관련된 장애	1% 미만 (1464 명 중 2 명)
눈의 유색 부위 및 주변 부위의 발적, 부기 또는 통증	1% 미만 (1464 명 중 2 명)

본 시험의 어떤 참여자도 파리시마 투여와 관련이 있고 신체의 다른 부위에 영향을 미치는 중대하지 않은 원치 않는 영향을 겪지 않았습니다.

기타 원치 않는 영향

기타 원치 않는 영향(상기 항에 나오지 않음)에 관한 정보는 본 요약서의 끝 부분에 명시된 웹사이트에서 확인할 수 있습니다. 8 항을 참조하십시오.

6. 본 시험이 연구에 어떤 도움이 되었습니까?

여기에 제시된 정보는 1474 명의 DME 환자를 대상으로 한 단일 연구에서 나온 것입니다. 이러한 결과는 연구자들이 DME 와 파리시막에 대해 더 많은 것을 아는 데 도움이 되었습니다.

단 하나의 시험으로는 약물의 위험성과 유익성에 대해 모든 것을 알 수 없습니다. 알아야 할 모든 것을 확인하려면 많은 시험에 대규모 인원이 참여해야 합니다. 본 시험의 결과는 동일한 약물을 이용한 다른 시험들과 다를 수 있습니다.

- 이는 본 요약서 하나만을 근거로 결정을 내려서는 안 된다는 것을 의미하므로 투여에 대해 결정하기 전에 항상 담당 의사와 상담하십시오.

7. 다른 시험에 대한 계획이 있습니까?

파리시막에 대한 시험은 여전히 진행되고 있으며, 추가 시험이 계획되어 있습니다.

8. 더 많은 정보를 원하는 경우 어디서 확인할 수 있습니까?

본 시험에 대한 보다 자세한 정보는 아래에 명시된 웹사이트에서 확인할 수 있습니다.

- <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>

본 시험에 대해 궁금한 점이 있으면 누구에게 문의하면 됩니까?

본 요약서를 읽은 후 추가적인 질문이 있는 경우,

- ForPatients 플랫폼 (<https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-tolerability-41480.html>)을 방문하여 연락처 양식을 작성하십시오
- 현지 Roche 지사의 담당자에게 문의해 주십시오.

본 시험에 참여했고 결과에 대해 궁금한 점이 있는 경우,

- 시험 병원 또는 클리닉의 임상시험 의사 또는 직원과 상담하십시오.

자신의 투여에 대해 궁금한 점이 있는 경우,

- 투여 담당 의사에게 문의하십시오.

누가 본 시험을 조직하고 관련 비용을 지급하였습니까?

본 시험을 조직하고 관련 비용을 지급한 당사자는 스위스 바젤에 본사를 둔 F. Hoffmann-La Roche Ltd입니다.

본 시험의 전체 제목 및 기타 식별 정보

본 시험의 전체 제목은 '당뇨성 황반부종 환자에서 파리시مام의 장기 안전성 및 내약성을 평가하는 제 3 상, 다기관, 공개 연장 시험'입니다.

본 시험은 'RHONE-X'라고도 합니다.

- 본 시험의 임상시험계획서 번호는 GR41987입니다.
- 본 시험의 ClinicalTrials.gov 식별 번호는 NCT04432831입니다.
- 본 시험의 EudraCT 번호는 2020-000402-29입니다.