

Riepilogo dei risultati della Sperimentazione Clinica

Studio volto a valutare un nuovo farmaco chiamato faricimab per il trattamento di persone con danni alla parte posteriore dell'occhio causati da diabete (edema maculare diabetico)

Vedere la Sezione 8 (pagina 14) alla fine di questo riepilogo per il titolo completo dello studio.

Informazioni su questo riepilogo

Questo riepilogo descrive i risultati di una sperimentazione clinica (chiamata anche uno studio), scritto per:

- Membri del pubblico, e
- Persone che partecipano allo studio.

Il presente riepilogo si basa sulle informazioni note al momento della stesura (Novembre 2023). Potrebbero essere ora disponibili ulteriori informazioni.

Lo studio è iniziato a Novembre 2020 ed è terminato a Dicembre 2022. Questo riepilogo presenta I risultati analizzati a Gennaio 2023.

Nessun singolo studio può dirci tutto sui rischi e i benefici di un farmaco. I risultati di questo studio possono essere diversi da quelli di altri studi con lo stesso medicinale.

- **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 partecipano a questo studio

Le persone che hanno partecipato hanno aiutato i medici a rispondere a domande importanti sulle persone con danni alla parte posteriore dell'occhio causati da diabete (edema maculare diabetico).

Informazioni chiave su questo studio

- Questo studio ha esaminato un farmaco chiamato faricimab in persone con danni alla parte posteriore dell'occhio causati dal diabete. Questa condizione è chiamata edema maculare diabetico (DME in breve).
- In questo studio, le persone hanno ricevuto iniezioni oculari di faricimab una volta al mese per 6 mesi.
- Questo studio ha incluso 99 persone in 7 Paesi in Nord America, Sud America ed Europa.
- Questo riepilogo descrive i principali risultati dello studio. Le persone trattate con iniezioni oculari di faricimab hanno acquisito la vista e hanno ridotto il liquido nella retina.
- Gli effetti collaterali del faricimab erano per lo più lievi e gestibili.
- Non sono stati segnalati effetti collaterali nuovi o inattesi e nessuno ha dovuto interrompere il trattamento a causa di effetti collaterali.

Contenuto del riepilogo

1. Quali sono i risultati dello studio?
2. Informazioni generali su questo studio
3. Chi partecipa a questo studio?
4. Cosa è accaduto durante lo studio?
5. Quali sono stati gli effetti collaterali?
6. In che modo questo studio aiuta la ricerca?
7. Sono previsti altri studi?
8. Dove posso reperire ulteriori informazioni?

Glossario

Angiopoietina-2 (Ang-2 in breve): una proteina che svolge un ruolo nella crescita e nella permeabilità dei vasi sanguigni e nell'infiammazione.

Edema maculare diabetico (DME in breve): danno alla parte posteriore l'occhio (la retina) causato da livelli elevati di zucchero nel sangue nelle persone affette da diabete.

Liquido intraretinico: liquido che si raccoglie all'interno della retina.

Macula: la parte centrale della retina che fornisce una visione nitida e chiara per attività come leggere, guidare e riconoscere i volti.

Edema maculare: gonfiore della retina dovuto alla fuoriuscita di vasi sanguigni.

Retina: il sottile strato di cellule nervose fotosensibili che riveste la parte posteriore dell'occhio e invia i segnali attraverso il nervo ottico al cervello per l'elaborazione.

Fattore di crescita endoteliale vascolare-A (VEGF-A in breve): una proteina che svolge un ruolo nella crescita e nella perdita di vasi sanguigni.

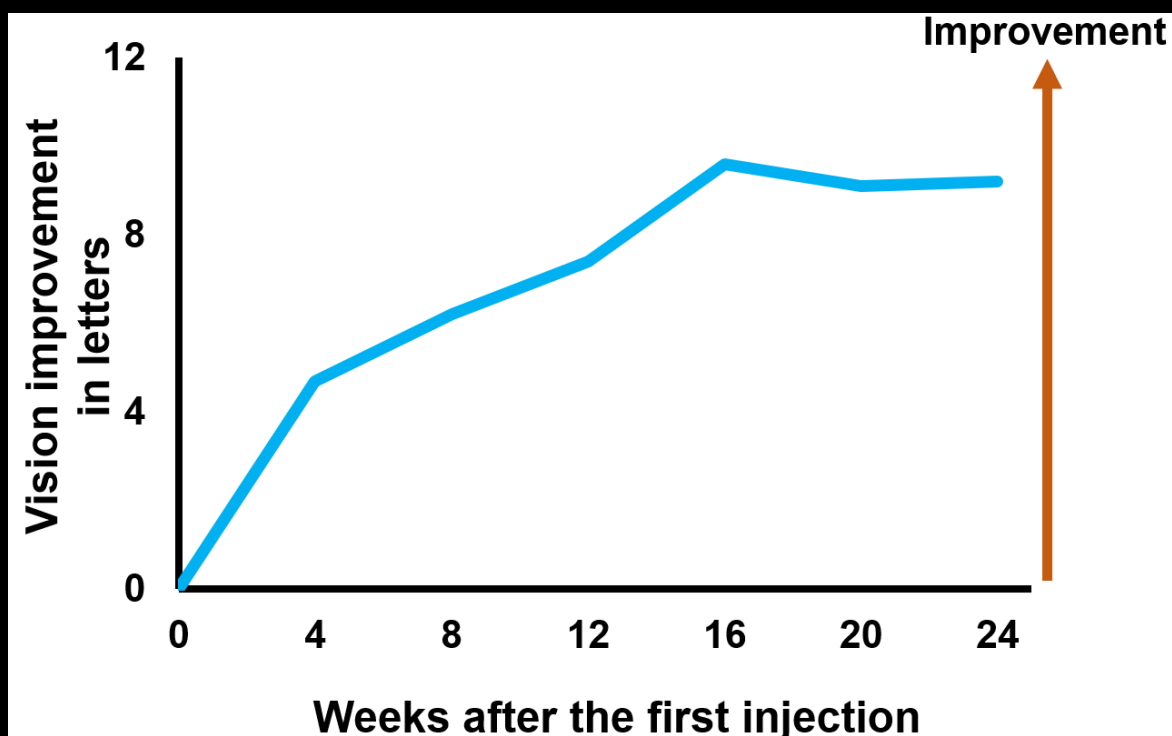
Sezione 1: Quali sono i risultati dello studio?

Domanda 1: Si è verificato un cambiamento nella visione migliore di una persona dopo 24 settimane rispetto all'inizio dello studio?

I medici hanno esaminato se la vista di una persona cambiava dall'inizio dello studio. Per questo motivo, le persone si sono sottoposte a un esame della vista scoprendo quante lettere potevano leggere su una tavola ottometrica standardizzata. Questo grafico ha righe di lettere, più grandi in alto e poi gradualmente più piccole verso il basso. I medici dello studio hanno confrontato i risultati degli esami oculistici eseguiti dopo 24 settimane con quelli eseguiti all'inizio dello studio.

In media, le persone che hanno ricevuto faricimab ogni mese hanno visto 9 lettere in più su una tavola ottometrica rispetto a quando hanno iniziato lo studio (la loro vista è migliorata). Il miglioramento della vista dall'inizio alla fine dello studio è mostrato di seguito nella Figura 1.

Figura 1: In che misura faricimab ha migliorato la vista delle persone affette da DME?

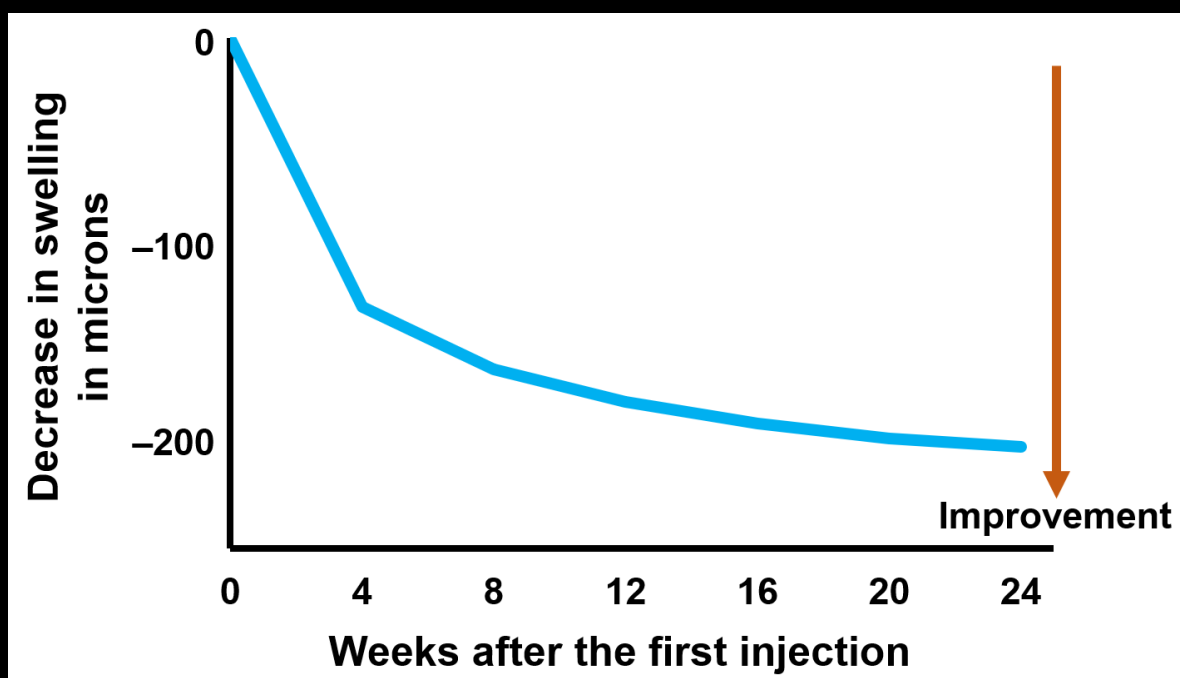


Domanda 2: In che misura il faricimab ha ridotto il gonfiore nella parte posteriore dell'occhio?

Nelle persone affette da DME, la perdita di vasi sanguigni causa gonfiore nella parte posteriore dell'occhio. I medici dello studio hanno valutato questo gonfiore misurando lo spessore della retina in micron, una scala per misurare cose molto piccole. Ad esempio, la larghezza media di un capello umano è di 75 micron e lo spessore normale della parte centrale della retina (la macula) è di circa 250 micron. In media, le persone che hanno preso parte a questo studio avevano uno spessore della macula di circa 464 micron prima di ricevere iniezioni oculari di faricimab. Una diminuzione del gonfiore significa che c'è meno danno all'occhio.

Dopo 24 settimane, in media, il faricimab aveva ridotto il gonfiore di 200 micron. La riduzione del gonfiore dall'inizio alla fine dello studio è mostrata di seguito nella Figura 2.

Figura 2: In che misura il faricimab ha ridotto il gonfiore nella parte posteriore dell'occhio nelle persone affette da DME?

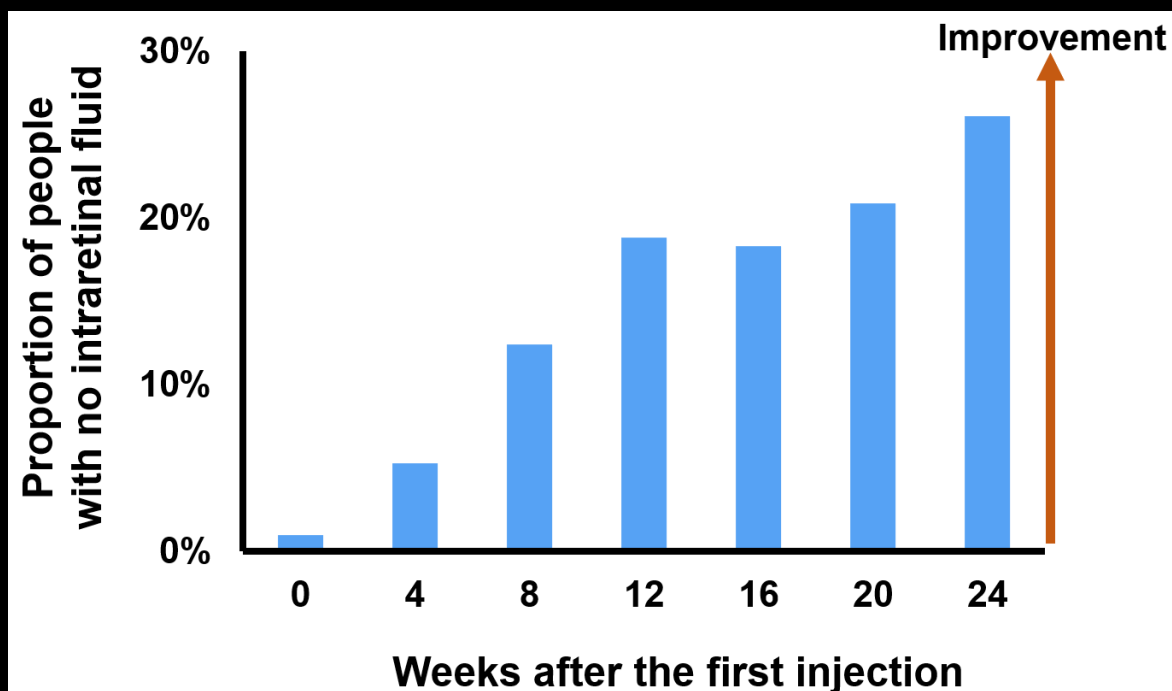


Domanda 3: In che misura il faricimab ha ridotto l'accumulo di liquido nella retina?

Il liquido intraretinico è un liquido che si raccoglie all'interno della retina. La presenza di liquido intraretinico è un segno distintivo del DME.

Prima di ricevere faricimab, quasi tutti (99%) i partecipanti a questo studio presentavano liquido intraretinico. Dopo 24 settimane, il 26% dei soggetti non presentava più liquido intraretinico. L'aumento della percentuale di persone senza liquido intraretinico dall'inizio alla fine dello studio è mostrato di seguito nella Figura 3.

Figura 3: In che misura il faricimab ha ridotto l'accumulo di liquido nella retina nelle persone affette da DME?



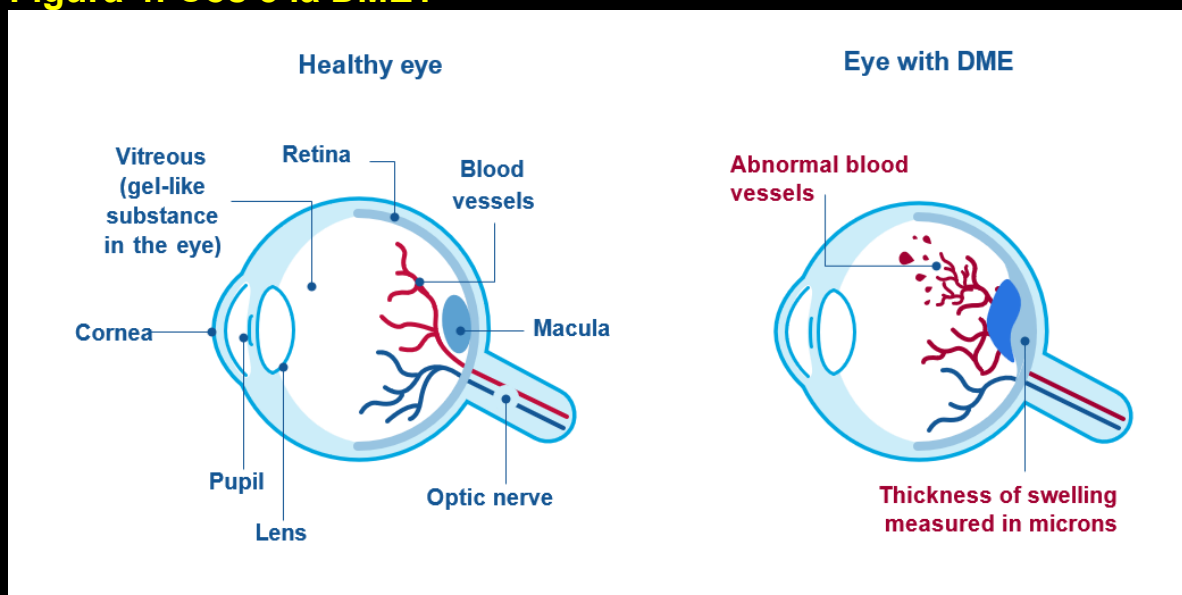
Questa sezione mostra solo i risultati di questo studio considerati di interesse per i pazienti.

Sezione 2: informazioni generali su questo studio

Domanda 1: perché è stato condotto questo studio?

La DME è una delle principali cause di perdita della vista e cecità nelle persone con diabete. Il DME colpisce la parte centrale della retina che fornisce una visione nitida e chiara (macula). La macula si rigonfia di liquido fuoriuscito da vasi sanguigni anomali.

Figura 4: Cos'è la DME?



Questa figura mostra un occhio sano e un occhio affetto da DME. A sinistra c'è il disegno di un occhio sano, che mostra la pupilla e il cristallino nella parte anteriore dell'occhio, e i vasi sanguigni, la retina, la macula e il nervo ottico nella parte posteriore dell'occhio. Sulla destra è rappresentato un disegno di un occhio con DME. I vasi sanguigni anomali perdono liquido nella macula, causando gonfiore e danno nella parte posteriore dell'occhio.

I trattamenti anti-VEGF di prima linea preferiti per la DME sono medicinali come aflibercept (Eylea®) e ranibizumab (Lucentis®), che vengono iniettati nell'occhio. Questi medicinali bloccano un *pathway* che causa la fuoriuscita di liquidi e la crescita di vasi sanguigni anomali. Questo *pathway* coinvolge la proteina del fattore di crescita endoteliale vascolare A (VEGF-A), che svolge un ruolo nella crescita e nella permeabilità dei vasi sanguigni. Altri trattamenti per la DME includono iniezioni di steroidi nell'occhio per ridurre il gonfiore e trattamenti laser per impedire che i vasi sanguigni perdano.

I medicinali approvati hanno migliorato la vista per molte persone affette da DME, ma in genere richiedono iniezioni oculari ogni 1-2 mesi per un lungo periodo di tempo. I farmaci più recenti, come il faricimab (Vabysmo™), che bloccano più vie, possono consentire alle persone di controllare i sintomi del DME con iniezioni meno frequenti.

Domanda 2: qual era il farmaco oggetto di studio?

- Faricimab è il farmaco che è stato testato in questo studio. Faricimab viene iniettato nell'occhio.
- Dite questo come "*far-in-see-mab*".
- Il faricimab blocca le due vie che coinvolgono le proteine VEGF-A e Ang-2. Il blocco del VEGF-A riduce la perdita di liquidi e può prevenire la crescita di nuovi vasi sanguigni anomali nell'occhio. Come il VEGF-A, il blocco dell'Ang-2 riduce anche la fuoriuscita di liquido dai vasi sanguigni. La riduzione della quantità di liquido che fuoriesce dai vasi sanguigni può ridurre il gonfiore della macula. Il blocco dell'Ang-2 riduce anche l'infiammazione e la cicatrizzazione della retina. Assumere un farmaco che blocca due vie diverse potrebbe essere più vantaggioso di un farmaco che blocca una sola via.
- Bloccando due vie che causano la DME, il faricimab può rafforzare più efficacemente i vasi sanguigni e migliorare la vista con meno iniezioni oculari.

Domanda 3: cosa volevano scoprire i medici dello studio?

I medici dello studio volevano scoprire se il faricimab potesse migliorare la vista e ridurre il gonfiore della retina (vedere la Sezione 1 "Quali sono i risultati dello studio?", pagina 4).

I medici dello studio volevano inoltre scoprire quanto fosse sicuro il faricimab per le persone affette da DME. Per verificare ciò, hanno esaminato il numero di effetti collaterali e la loro gravità (vedere Sezione 5 "Quali sono stati gli effetti collaterali?", pagina 10).

Domanda 4: Che tipo di studio era questo?

Questo era uno studio di "fase IIb". Ciò significa che prima di questo studio, il faricimab è stato testato in un numero inferiore di persone affette da DME.

Lo studio era a "braccio singolo". Ciò significa che a tutti i partecipanti a questo studio è stato somministrato lo stesso medicinale.

Lo studio era in aperto. Ciò significa che sia le persone che i medici coinvolti nello studio sapevano che le persone avevano ricevuto faricimab.

Domanda 5: quando e dove si è svolto lo studio?

Lo studio è iniziato a Novembre 2020 ed è terminato a Dicembre 2022.

Questo studio ha avuto luogo in 24 centri in 7 Paesi, tra cui Argentina, Canada, Germania, Italia, Polonia, Regno Unito e Stati Uniti.

Sezione 3: Chi partecipa a questo studio?

In totale, hanno partecipato a questo studio 99 adulti affetti da DME.

Circa 6 persone su 10 (61) erano uomini e 4 persone su 10 (38) erano donne. All'inizio dello studio le persone avevano, in media, 60 anni.

Le persone potevano partecipare allo studio se:

- Presentavano gonfiore nella parte centrale della retina (macula) con uno spessore di 325 micron o superiore.

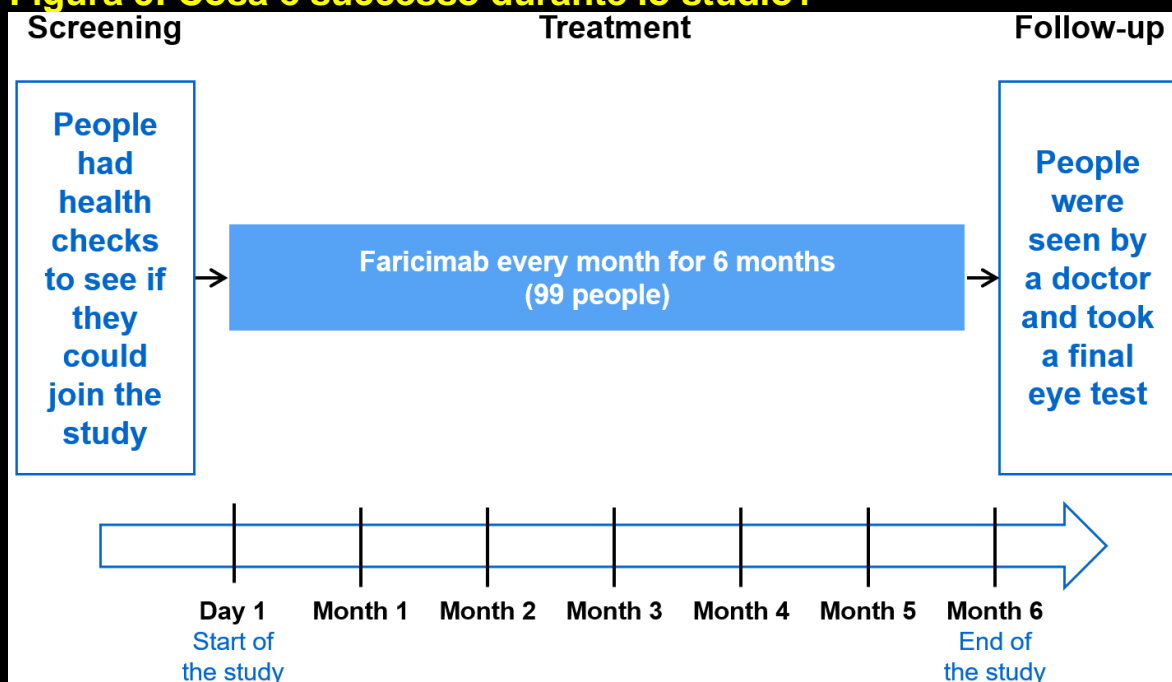
- Riuscivano a leggere tra 75 e 20 lettere su una tavola ottometrica standard, il che significa che aveva una vista compresa tra 20/40 e 20/400.
- Avevano i bulbi oculari chiari e le loro pupille potevano essere dilatate con speciali gocce oculari per consentire buone foto della retina per confermare l'edema maculare.

Sezione 4: Cosa è successo durante lo studio?

Le persone hanno ricevuto 6 milligrammi di faricimab, che è stato iniettato nel loro occhio una volta al mese per 6 mesi.

C'è un diagramma che mostra ciò che è successo durante lo studio di seguito (vedere la Figura 5).

Figura 5: Cosa è successo durante lo studio?



Sezione 5: Quali sono stati gli effetti collaterali?

Gli effetti collaterali (noti anche come reazioni avverse) sono problemi medici (come irritazione oculare o dolore oculare) che possono verificarsi durante uno studio. Questa sezione descrive gli effetti collaterali segnalati durante lo studio:

- Alcuni effetti indesiderati possono essere correlati ai medicinali utilizzati, alla procedura di iniezione o alla malattia stessa.
- Non tutte le persone che hanno partecipato a questo studio hanno manifestato uno o tutti gli effetti collaterali.
- Gli effetti collaterali possono variare da lievi a gravi e possono differire da persona a persona.

Durante lo studio, gli effetti collaterali causati dal faricimab sono stati per lo più lievi, gestibili e risolti.

In questo studio non sono stati osservati effetti collaterali che abbiano causato l'interruzione del trattamento con faricimab.

Gli effetti indesiderati gravi e comuni sono elencati nei seguenti paragrafi.

Domanda 1: Quali effetti collaterali gravi sono stati segnalati?

Un effetto collaterale è considerato grave se è pericoloso per la vita, causa la perdita della vista, necessita di cure ospedaliere o causa problemi duraturi che sono invalidanti.

Durante lo studio non sono stati segnalati effetti collaterali gravi nell'occhio trattato con faricimab. Otto persone su 99 (circa l'8%) trattate con faricimab hanno manifestato un effetto collaterale grave non correlato agli occhi.

Domanda 2: quali sono stati gli effetti collaterali segnalati più comuni?

Durante questo studio, 23 persone su 99 (circa il 23%) hanno manifestato almeno un effetto collaterale nell'occhio trattato con faricimab.

La Tabella 2 qui di seguito mostra i 6 effetti collaterali più comuni segnalati per questo studio.

Tabella 2: quali sono gli effetti collaterali segnalati più comuni?

Effetti collaterali più comuni nell'occhio trattato	99 persone in totale
Depositi di grasso nella retina (essudati retinici)	5 su 99 (5.1%)
Macchie rosse sulla parte bianca dell'occhio causate da perdite di sangue dai vasi sanguigni rotti (emorragia congiuntivale)	4 su 99 (4.0%)
Infiammazione che fa apparire rossa la parte bianca dell'occhio (iperemia congiuntivale)	3 su 99 (3.0%)
Gonfiore dei vasi sanguigni all'interno dell'occhio che sono a rischio di scoppiare (aneurisma retinico)	3 su 99 (3.0%)
Fibre nel liquido gelatinoso all'interno dell'occhio che si sono staccate dalla retina (distacco vitreale)	3 su 99 (3.0%)
Macchie nella vista (corpi mobili vitreali)	3 su 99 (3.0%)

Tutti gli effetti indesiderati nell'occhio trattato con faricimab erano di gravità lieve o moderata.

Gli effetti indesiderati lievi possono causare fastidio, ma non interrompono le normali attività quotidiane, mentre gli effetti indesiderati moderati possono causare fastidio, che influisce o riduce le normali attività quotidiane.

Domanda 3: Si sono verificati altri effetti collaterali?

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 (pagina 13).

Sezione 6: In che modo questo studio aiuta la ricerca?

I risultati descritti in questo riepilogo provengono da un singolo studio su 99 persone affette da DME. Questi risultati stanno aiutando i medici dello studio a saperne di più sul faricimab e sui suoi effetti nelle persone affette da DME.

Il risultato principale è che le persone che hanno ricevuto iniezioni oculari di faricimab hanno mostrato miglioramenti simili nella vista. Gli effetti collaterali del faricimab erano per lo più lievi, facilmente trattati e paragonabili a quanto già noto sul faricimab. Non sono stati segnalati effetti indesiderati nuovi o inattesi.

Sezione 7: Sono previsti altri studi?

Al momento non sono previsti altri studi sul faricimab in persone affette da DME.

Sezione 8: Dove posso trovare maggiori informazioni?

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

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04597918>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2020-001174-30/PL>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-investigate-aqueous-humor-and-multimodal-ima-93975.html>

Domanda 1: a chi posso rivolgermi in caso di domande su questo studio?

Per qualsiasi domanda dopo aver letto questo riepilogo:

- Visitare la piattaforma For Patients e compilare il modulo di contatto:
<https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/dme/a-study-to-investigate-aqueous-humor-and-multimodal-ima-93975.html>
- Contattare un rappresentante presso la sede locale di Genentech o Roche.

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

- Si rivolga al medico dello studio o al personale dell'ospedale o della clinica dello studio.

In caso di domande sul trattamento:

- Parli con il medico responsabile del Suo trattamento.

Domanda 2: chi organizza e si fa carico dei costi per questo studio?

Questo studio è organizzato da F. Hoffmann-La Roche Ltd che ha la sua sede centrale a Basilea, Svizzera e si prende carico di tutti i costi.

Titolo completo dello studio e altre informazioni identificative

Il titolo completo di questo studio è: "Studio esplorativo, prospettico, multicentrico, in aperto, a braccio singolo, interventistico, di fase IIB per studiare l'umore acqueo e i biomarcatori di imaging multimodale in

pazienti con edema maculare diabetico, naïve al trattamento, trattati con Faricimab".

Lo studio è noto come 'ALTIMETER'.

Il numero di protocollo per questo studio è MR41926.

L'identificativo di ClinicalTrials.gov per questo studio è NCT04597918.

Il numero EudraCT per questo studio è 2020-001174-30.