

## 임상시험 결과 요약

간에 영향을 미치고 신체의 다른 부위로 성장했거나 전이된 암이 있는 환자가 다양한 용량의 **RO7119929** 를 복용하는 것이 얼마나 안전한지 알아보기 위한 임상시험

임상시험의 전체 제목은 요약의 마지막 부분을 참조하십시오.

### 요약 설명

본 문서는 임상시험(본 문서에서 '임상시험'이라고 함)의 결과에 대한 요약으로서, 다음을 위해 작성되었습니다.

- 일반 대중 및
- 임상시험에 참여한 사람

이 요약은 작성 시점에 알려진 정보를 근거로 합니다.

본 임상시험은 2020년 7월에 시작되었고, 임상시험을 의뢰한 제약회사인 로슈(Roche)가 잠재적으로 더 영향력 있는 다른 약물의 개발에 집중하기로 결정했기 때문에 2022년 11월에 조기 중단되었습니다. 임상시험을 조기에 중단하는 이유는 너무 많은 사람들이 우려되는 부작용을 경험했기 때문이 아니었으며, 시험약이 효과가 없었음을 시사하는 정보도 충분하지 않았습니다.

단일 임상시험이 약물의 위험 및 이익에 관한 모든 것을 알려줄 수는 없습니다. 알아야 할 모든 것을 알아내기 위해서는 많은 임상시험에서 다수의 사람들이 필요합니다. 본 임상시험의 결과는 동일한 약물을 사용하는 다른 임상시험과 다를 수 있습니다.

### 요약 내용

1. 본 임상시험에 대한 일반 정보
2. 누가 이 임상시험에 참여했습니까?
3. 임상시험 기간 동안 어떤 일이 발생했습니까?
4. 임상시험의 결과는 무엇이었습니까?
5. 어떤 부작용이 있었습니까?
6. 이 임상시험이 연구에 어떻게 도움이 되었습니까?
7. 다른 임상시험에 대한 계획이 있습니까?
8. 추가 정보는 어디에서 확인할 수 있습니까?

- 이는 귀하가 이 하나의 요약에 기반하여 결정을 내려서는 안 된다는 것을 의미합니다. 귀하의 투여에 관한 결정을 내리기 전에 항상 담당 의사와 상의하십시오.

본 임상시험에 참여하신 분들께 감사드립니다.

### 본 임상시험에 대한 주요 정보

- 본 임상시험은 **RO7119929** 를 단독으로 투여했을 때 얼마나 안전한지 알아보고 사람들에게 건딜 수 없는 부작용이 발생하지 않는, 투여할 수 있는 최적의 용량과 투여 일정을 찾기 위해 실시되었습니다.
- 이 임상시험에서, 연구 대상 약물('RO7119929'라고 함)이 처음으로 사람들에게 투여되었습니다.
- 이 임상시험에는 5 개국에서 55 명이 참여했습니다.

- 이 임상시험의 주요 소견은 RO7119929 가 간에 영향을 미치고 성장 또는 전이된 암이 있는 환자에게 투여하기에 충분히 안전했다는 것입니다.
- RO7119929 를 복용한 사람 중 약 42%(55 명 중 23 명)가 중대한 부작용을 경험했습니다(단기간 또는 장기간 입원을 초래할 수 있으며, 드문 경우 생명을 위협할 수 있음).
- 본 임상시험은 임상시험을 의뢰한 제약회사인 로슈(Roche)가 잠재적으로 더 영향력 있는 다른 약물의 개발에 집중하기로 결정했기 때문에 조기 중단되었습니다. 임상시험을 조기에 중단하는 이유는 너무 많은 사람들이 우려되는 부작용을 경험했기 때문이 아니었으며, 시험약이 효과가 없었음을 시사하는 정보도 충분하지 않았습니다.

## 1. 본 임상시험에 대한 일반 정보

### 이 임상시험을 실시한 이유는 무엇입니까?

성장하거나 전이되기 전에 진단된 간암은 종종 수술로 제거하고 치유할 수 있습니다. 그러나 간암이 있는 대부분의 사람들은 암이 성장했거나('진행성' 간암으로 알려짐) 신체의 다른 부위로 전이된 후('전이성' 간암으로 알려짐) 처음으로 간암을 진단받습니다. 이러한 유형의 암은 수술로 제거할 수 없으며 전이되지 않은 더 작은 암보다 치료하기가 더 어렵습니다. 유방암 또는 폐암과 같은 다른 유형의 암도 간으로 전이될 수 있습니다.

진행성 또는 전이성 간암과 간으로 전이된 다른 유형의 암에 대한 현행 치료에는 항암화학요법, 방사선요법, 면역요법이 포함됩니다. 면역요법제는 면역계가 암세포를 찾아 파괴하는 데 도움을 줍니다.

이러한 치료의 병용은 한동안 암에 대해 효과가 있을 수 있지만, 간에 영향을 미치는 암을 가진 사람이 더 오래 살 수 있도록 돕기 위해서는 새로운 치료가 필요합니다.

### 연구 중인 약물은 무엇이었습니까?

본 임상시험은 'RO7119929'라는 약물을 중점적으로 연구했습니다.

- RO7119929 는 보건의약품이 간암 또는 간에 영향을 미치는 다른 암의 치료제로 승인하지 않았기 때문에 시험약이라고 합니다.
- RO7119929 는 본 임상시험에서 처음으로 사람에게 투여되었습니다.

- RO7119929 는 신체의 자연 면역계를 자극하여 작용하며, 일종의 면역요법입니다.
- 이는 RO7119929 가 암 치료제로서 도움이 될 수 있음을 의미할 수 있습니다.
- RO7119929 는 얼마나 안전한지 그리고 얼마나 효과가 있는지 알아보기 위해 다양한 용량으로 검사되었습니다.

이 임상시험에서는 부작용의 양과 중대성을 줄이기 위해 RO7119929 를 투여하기 전에 '토실리주맙'이라는 다른 약물도 투여했습니다. 이를 예비투약이라고 합니다.

- 귀하는 이를 'toe-see-liz-oo-mab'으로 읽으면 됩니다.
  - 토실리주맙은 면역계가 과도하게 반응하는 것을 중단함으로써 작용하며, 이는 면역계가 필요보다 더 공격적으로 면역요법에 반응할 때 발생할 수 있습니다.

### 연구자들은 무엇을 알아내고자 했습니까?

- 연구자들은 이 임상시험 기간 동안 얼마나 많은 사람들이 부작용을 경험했는지 그리고 그 부작용이 얼마나 중대했는지 확인하여 RO7119929 가 토실리주맙 예비투약이 있거나 없을 때 얼마나 안전한지 알아보기 위해 이 임상시험을 실시했습니다(5 항 '어떤 부작용이 있었습니까?' 참조).

연구자들이 답변하고자 하는 주요 질문은 다음과 같았습니다.

1. 더 높은 용량의 RO7119929 투여 시 어떤 유형의 견딜 수 없는 부작용이 발생했으며, 이러한 부작용을 경험한 사람은 몇 명입니까?
2. 토실리주맙 예비투약이 있거나 없을 때 어떤 용량 및 투여 일정의 RO7119929 가 (안전성 및 효과 측면에서) 더 낫습니까?

### 어떤 유형의 임상시험이었습니까?

이 임상시험은 '제 1 상' 임상시험이었으며, 이는 이 임상시험이 RO7119929 에 대한 첫 번째 임상시험 중 하나였음을 의미합니다. 성장했거나 신체의 다른 부위로 전이된 간암이 있는 소수의 사람들이 RO7119929 를 복용했으며, 연구자들은 RO7119929 가 암, 신체 및 전반적인 건강에 어떻게 영향을 미쳤는지 더 자세히 알아보기 위해 참여한 사람들에게 대한 의학적 검사를 실시했습니다.

이는 '공개' 임상시험이었습니다. 이는 임상시험에 참여하는 사람들과 임상시험 의사 모두 임상시험에 참여하는 사람들이 RO7119929 를 복용하고 있다는 것을 알고 있음을 의미합니다.

## 언제, 어디에서 임상시험이 실시되었습니까?

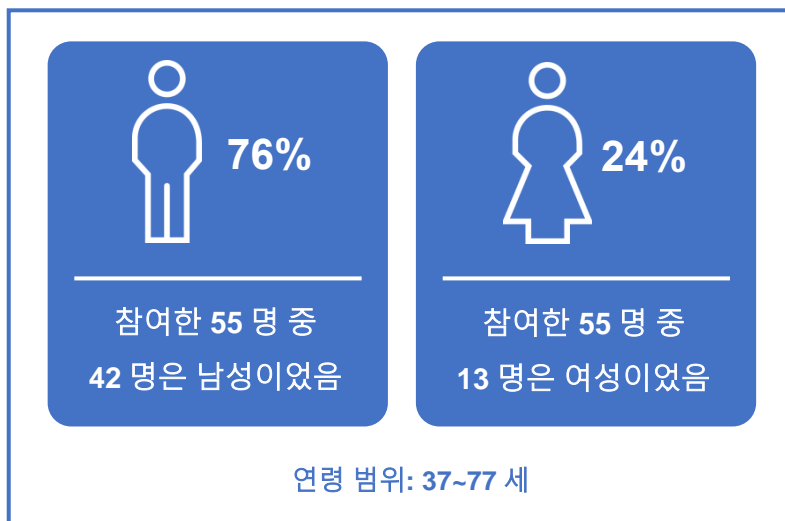
이 임상시험은 2020년 7월에 시작되어 2022년 11월에 완료되었습니다. 이 요약은 임상시험이 종료된 후 작성되었습니다.

이 임상시험은 유럽과 아시아의 5개국에 소재한 8개 시험기관에서 실시되었습니다. 국가는 다음과 같습니다: 덴마크, 홍콩, 대한민국, 스페인, 대만.

## 2. 누가 이 임상시험에 참여했습니까?

성장했거나 신체의 다른 부위로 전이되어 간에 영향을 미치는 암을 가진 환자 55명이 본 임상시험에 참여했습니다.

임상시험에 참여한 사람들은 37~77세였고, 55명 중 42명(76%)이 남성이었으며 55명 중 13명(24%)이 여성이었습니다.



본 임상시험에 참여하기 위해 사람들은 특정 의학적 기준을 충족해야 했습니다. 이는 시험약이 가능한 한 안전하게 사람들에게 투여되었는지 확인하고, 연구자들이 유사한 의학적 상태를 가진 사람들에서 약물이 얼마나 잘 작용하는지 확인할 수 있도록 하기 위한 것입니다. 사람들이 충족해야 하는 주요 기준은 아래에 나와 있습니다.

다음과 같은 경우 임상시험에 참여할 수 있었습니다.

- 18 세 이상인 경우
- 성장했거나 전이된 간암을 진단받았고 수술로 제거할 수 없었거나, 성장했거나 간으로 전이된 다른 유형의 암으로 진단받은 경우
- 이용 가능한 표준 치료가 없었거나 표준 치료를 받을 수 없었던 경우

다음과 같은 경우 임상시험에 참여할 수 없었습니다.

- 이전에 RO7119929 와 유사한 약물로 치료를 받은 경우
- 뇌 또는 척수에 영향을 미친 암이 있었거나 이전에 있었던 경우
- 간 외부에 치료가 필요한 암이 있었던 경우
- 면역 질환 또는 조절되지 않는 B 형 간염 감염이 있었던 경우
- 임신 또는 모유수유 중이었던 경우

### 3. 임상시험 기간 동안 어떤 일이 발생했습니까?

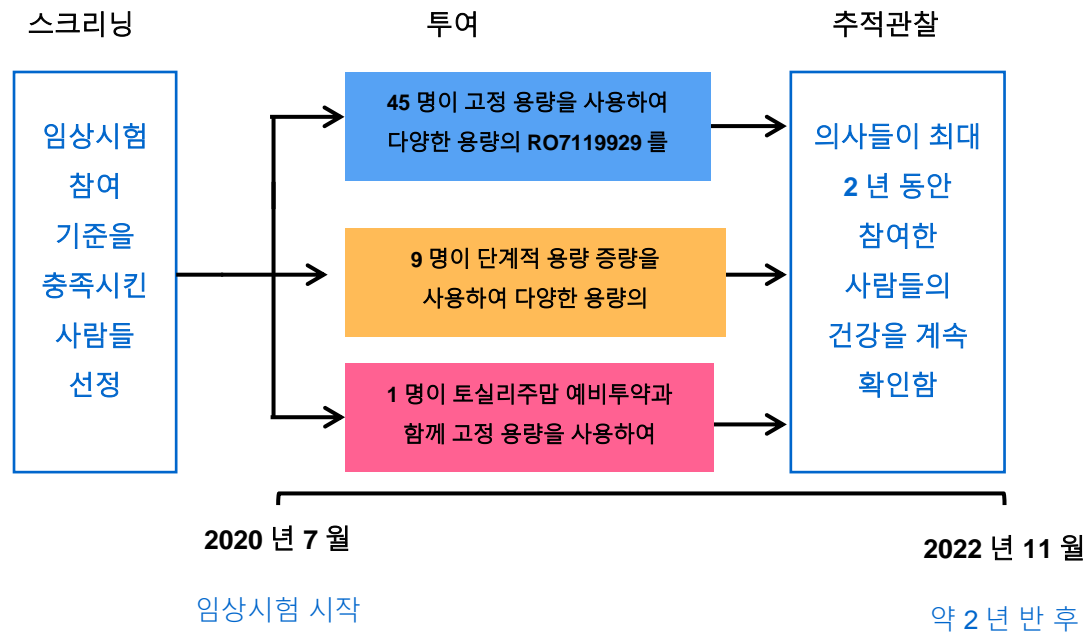
임상시험 기간 동안, 허용 불가능한 부작용이 있었거나 암이 악화되었거나 임상시험 참여를 중단하기로 선택하지 않는 한, 사람들은 1 년 동안 주 1 회 캡슐(삼킬 것)로 RO7119929 를 투여받았습니다.

사람들로 구성된 그룹에 1~9 mg 범위로 다양한 용량의 RO7119929 가 3 가지 방법 중 하나로 투여되었으며, 이를 '투여 일정'이라고 합니다.

- 일부 군은 매주 의도된 용량을 투여받았으며('고정 용량'으로 알려짐) 임상시험의 이 파트에 45 명이 참여했습니다.
- 다른 군은 첫 1 주 또는 2 주 동안 더 적은 용량의 RO7119929 를 투여받은 후, 의도된 용량으로 용량을 증량했습니다('단계적 용량 증량'으로 알려짐). 임상시험이 중단되기 전, 9 명이 임상시험의 이 파트에 참여했습니다.
- RO7119929 를 복용하기 전 중대한 부작용의 위험을 줄이기 위해 한 군은 점적 주입(정맥 내)으로 토실리주맙 예비투약을 받아야 했습니다. 중단되기 전에 임상시험의 이 파트에 참여한 사람은 단 한 명뿐이었습니다.

또한, RO7119929 복용 후 면역계가 필요보다 더 적극적으로 감염 또는 면역요법제에 반응할 때 '사이토카인 방출 증후군'으로 알려진 부작용이 발생한 경우, 토실리주맙을 주입(정맥 내)으로 투여했습니다. 사이토카인 방출 증후군의 증상에는 발열, 메스꺼움(오심), 피곤함(피로), 몸살이 포함됩니다.

사람들은 시험약 복용을 완료한 후, 전반적 건강을 확인하기 위한 추가 방문을 위해 시험기관을 내원하도록 요청받았습니다. 아래 흐름도는 본 임상시험과 관련된 모든 단계를 보여줍니다.



#### 4. 임상시험의 결과는 무엇이었습니까?

**질문 1:** 더 높은 용량의 RO7119929 투여 시 어떤 유형의 견딜 수 없는 부작용이 발생했으며, 이러한 부작용을 경험한 사람은 몇 명입니까?

이 임상시험에서 4 명의 사람들이 더 높은 용량의 RO7119929 를 투여할 수 없었던 견딜 수 없는 부작용을 경험했습니다.

- 4 명 모두 이 임상시험의 고정 용량군에서 고용량(6 또는 9 mg)의 RO7119929 를 복용한 후 사이토카인 방출 증후군의 부작용을 경험했습니다.
  - 이 부작용은 중대한 것으로 간주되었고, 중증이었지만 즉각적으로 생명을 위협하지는 않았습니다.
  - 부작용은 2~8 일 정도 지속되었습니다.
  - 4 명 모두 사이토카인 방출 증후군 치료를 통해 완전히 회복되었습니다.
- 이들 중 한 명은 RO7119929 투여 후 간 기능 검사 결과 이상도 보였습니다.
  - 이 부작용은 중대하지 않은 것으로 간주되었고, 중증이었지만 즉각적으로 생명을 위협하지는 않았습니다.

- 9 일간 지속되었습니다.
- 이 사람은 간 손상에 대한 치료 없이 완전히 회복되었습니다.

더 낮은 용량의 RO7119929 또는 단계적 용량 증량 사용 시 견딜 수 없는 부작용은 관찰되지 않았습니다.

전반적으로, 이 임상시험의 결과는 RO7119929 가 간에 영향을 미치고 성장 또는 전이된 암이 있는 환자에게 투여하기에 충분히 안전했음을 보였습니다.

사람들은 약물을 복용할 때 원치 않는 의학적 문제(부작용)를 경험할 것으로 예상됩니다. 이 임상시험에서 55 명 중 50 명(91%)이 RO7119929 복용과 관련된 부작용을 경험했습니다.

부작용을 경험한 사람의 유형, 중대성, 수에 대한 추가 정보는 5 항에 제시되어 있습니다.

## 질문 2: 토실리주맙 예비투약이 있거나 없을 때 어떤 용량 및 투여 일정의 RO7119929 사용이 권장되었습니까?

사람들이 견딜 수 없는 부작용을 경험하기 전에 투여할 수 있는 RO7119929 의 최대 용량은 고정 용량을 사용했을 때 6 mg 이었으나, 이 임상시험에서 권장 용량을 찾기에는 정보가 충분하지 않았습니다.

이 항은 이 임상시험의 주요 결과만을 보여줍니다. 이 요약의 마지막 부분에 있는 웹사이트에서 다른 모든 결과에 대한 정보를 확인할 수 있습니다(8 항 참조).

## 5. 어떤 부작용이 있었습니까?

부작용은 임상시험 기간 동안 발생하는 의학적 문제입니다.

다음과 같은 다양한 방식으로 그룹화할 수 있습니다.

- 중대하지 않은 부작용: 이는 중대하지 않은 부작용입니다(예: 토할 것 같은 느낌).
- 중대한 부작용: 이는 중대한 부작용으로, 짧은 시간 또는 긴 시간 동안 입원을 초래할 수 있으며, 드물게는 생명을 위협할 수 있습니다.
- 흔한 중대하지 않은 부작용: 이는 가장 자주 발생하는 중대하지 않은 부작용입니다.
- 흔한 중대한 부작용: 이는 가장 자주 발생하는 중대한 부작용입니다.

임상시험 의사가 부작용이 시험약과 관련이 있다고 생각했기 때문에 이 요약서에 설명되어 있습니다.



이 임상시험의 모든 사람들이 모든 부작용을 경험한 것은 아닙니다.

부작용은 경미함 내지 매우 중대할 수 있으며 사람마다 다를 수 있습니다.

- 여기서 보고된 부작용은 이 단일 임상시험에서 비롯된 것임을 알아야 합니다. 따라서, 여기에 제시된 부작용은 다른 임상시험에서 관찰된 것과 다를 수 있습니다.

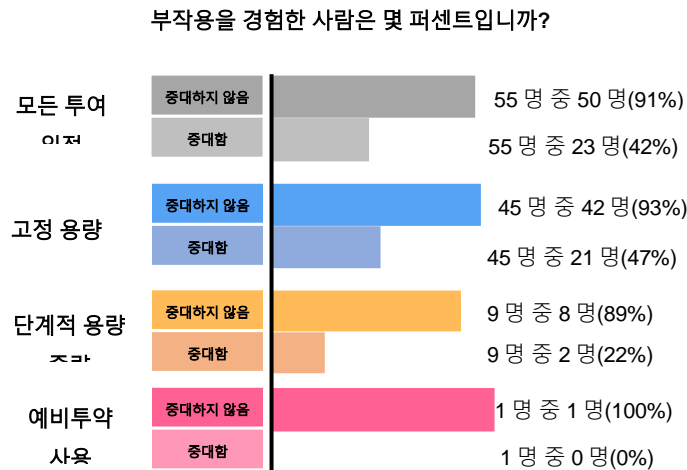
이 임상시험에서 55 명의 사람들이 보고한 부작용의 개요가 다음 항에 나와 있습니다.

### 중대하지 않은 부작용 및 중대한 부작용

이 임상시험 기간 동안, 10 명 중 약 4 명(42%)이 시험약 투여와 관련된 최소 1 건의 중대한 부작용을 경험했습니다. RO7119929 를 고정 용량 일정으로 복용한 환자 2 명 중 약 1 명(47%)이 중대한 부작용을 경험한 반면, RO7119929 를 단계적 용량 증량 일정으로 복용한 환자는 5 명 중 약 1 명(22%)이 중대한 부작용을 경험했습니다.

모두 10 명 중 약 9 명(91%)이 중대한 것으로 간주되지 않은 부작용을 경험했습니다.

아래 차트는 RO7119929 로 인해 중대하지 않거나 중대한 부작용을 경험한 사람의 수를 보여줍니다.



### 중대한 부작용

|                         |  |   |
|-------------------------|--|---|
| 본 임상시험에서 보고된<br>중대한 부작용 | RO7119929 를 복용하는<br>사람 - 고정 용량 일정<br>(총 46 명)* | RO7119929 를 복용하는<br>사람 - 단계적 용량 증량<br>일정<br>(총 9 명) |
| 사이토카인 방출 증후군            | 46%(46 명 중 21 명)                               | 22%<br>(9 명 중 2 명)                                  |
| 보행 운동이 영향을 받음           | 2%(46 명 중 1 명)                                 | 0%<br>(9 명 중 0 명)                                   |

\*(RO7119929 투여 전) 토실리주맙 예비투약을 받은 한 명 포함.

시험약 중 하나와 관련이 있을 수 있는 부작용으로 사망한 사람은 없었습니다.

그러나 55 명 중 25 명(46%)이 임상시험 기간 동안 다음으로 인해 사망했습니다.

- 암(55 명 중 24 명 - 44%)
- RO7119929 의 부작용이 아닌 건강 문제(55 명 중 1 명 - 2%)

임상시험 기간 동안, 55 명 중 7 명(11%)이 부작용으로 인해 시험약 복용을 중단하기로 결정했습니다. 이러한 사람은 5, 6 또는 9 mg 의 RO7119929 를 고정 용량으로 복용하고 있었습니다.

### 가장 흔한 중대하지 않은 부작용

모든 투여군 전체에 걸쳐 최소 3 명의 사람들에서 관찰된 가장 흔한 중대하지 않은 부작용이 다음 표에 나와 있습니다. 일부 사람들은 한 가지가 넘는 부작용을 경험했습니다. 이는 표에서 한 행이 넘는 행에 부작용이 포함되어 있음을 의미합니다.

|                                      |  |   |
|--------------------------------------|--|---|
| 본 임상시험에서 보고된<br>가장 흔한 중대하지 않은<br>부작용 | RO7119929 를 복용하는<br>사람 - 고정 용량 일정<br>(총 46 명)* | RO7119929 를 복용하는<br>사람 - 단계적 용량 증량<br>일정<br>(총 9 명) |
| 사이토카인 방출 증후군                         | 89%<br>(46 명 중 41 명)                           | 78%<br>(9 명 중 7 명)                                  |
| 메스꺼움(오심)                             | 13%<br>(46 명 중 6 명)                            | 22%<br>(9 명 중 2 명)                                  |
| 간, 심장 또는 신장 손상 -<br>혈액 내 'AST'라고 하는  | 11%<br>(46 명 중 5 명)                            | 11%<br>(9 명 중 1 명)                                  |

|                                       |                     |                    |
|---------------------------------------|---------------------|--------------------|
| 물질의 높은 수치로 나타남                        |                     |                    |
| 낮은 백혈구 수                              | 11%<br>(46 명 중 5 명) | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 오한                                    | 9%<br>(46 명 중 4 명)  | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 발열                                    | 9%<br>(46 명 중 4 명)  | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 간 손상 - 혈액 내 'ALT'라고 하는 물질의 높은 수치로 나타남 | 7%<br>(46 명 중 3 명)  | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 낮은 에너지 수준 / 근육 쇠약                     | 9%<br>(46 명 중 4 명)  | 0%<br>(9 명 중 0 명)  |
| 피곤함(피로)                               | 7%<br>(46 명 중 3 명)  | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 토함(구토)                                | 7%<br>(46 명 중 3 명)  | 11%<br>(9 명 중 1 명) |
| 혈중 '빌리루빈'이라고 하는 물질의 높은 수치             | 7%<br>(46 명 중 3 명)  | 0%<br>(9 명 중 0 명)  |
| '혈소판'이라고 하는 혈액 응고를 돕는 혈구 조각의 낮은 수치    | 7%<br>(46 명 중 3 명)  | 0%<br>(9 명 중 0 명)  |

\*(RO7119929 투여 전) 토실리주맙 예비투약을 받은 한 명 포함.

## 기타 부작용

이 요약의 마지막 부분에 있는 웹사이트에서 다른 부작용(위 항에 제시되지 않음)에 대한 정보를 확인할 수 있습니다 - 8 항을 참조하십시오.

## 6. 이 임상시험이 연구에 어떻게 도움이 되었습니까?

여기에 제시된 정보는 간에 영향을 미치는 암을 가진 55 명의 환자를 대상으로 한 단일 임상시험에서 얻은 것입니다. 이러한 결과는 연구자들이 RO7119929에 대해 더 많은 것을 알아내는 데 도움이 되었습니다.

단일 임상시험이 약물의 위험 및 이익에 관한 모든 것을 알려줄 수는 없습니다. 알아야 할 모든 것을 알아내기 위해서는 많은 임상시험에서 다수의 사람들이

필요합니다. 본 임상시험의 결과는 동일한 약물을 사용하는 다른 임상시험과 다를 수 있습니다.

- 이는 귀하가 이 하나의 요약에 기반하여 결정을 내려서는 안 된다는 것을 의미합니다. 귀하의 투여에 관한 결정을 내리기 전에 항상 담당 의사와 상의하십시오.

## 7. 다른 임상시험에 대한 계획이 있습니까?

본 요약서 작성 시점에, 현재로서는 RO7119929 를 조사하는 추가 임상시험이 계획되어 있지 않습니다.

## 8. 추가 정보는 어디에서 확인할 수 있습니까?

이 임상시험에 대한 추가 정보는 아래 나열된 웹사이트에서 확인할 수 있습니다.

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04338685>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/hepatocellular-carcinoma/a-phase-i-study-evaluating-safety--pharmacokinetics--ph-52519.html>

### 본 임상시험에 대해 질문이 있는 경우 누구에게 연락할 수 있습니까?

이 요약을 읽은 후 추가 질문이 있는 경우:

- ForPatients 플랫폼을 방문하여 연락처 양식을 작성하십시오 - <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/hepatocellular-carcinoma/a-phase-i-study-evaluating-safety--pharmacokinetics--ph-52519.html>
- 현지 로슈(Roche) 사무실의 담당자에게 연락합니다.

귀하가 본 임상시험에 참여했고 결과에 대해 질문이 있는 경우:

- 임상시험 병원 또는 진료소의 임상시험 의사 또는 연구진과 상의합니다.

귀하의 치료에 대해 질문이 있는 경우:

- 치료를 담당하는 의사와 상담합니다.

### 누가 본 임상시험을 조직하고 비용을 지급했습니까?

이 임상시험은 스위스 바젤에 본사를 두고 있는 F. Hoffmann-La Roche Ltd 가 조직하고 비용을 지급했습니다.

## 임상시험의 전체 제목 및 기타 식별 가능한 정보

---

본 임상시험의 전체 제목은 다음과 같습니다: '절제 불가능 진행성 또는 전이성 간세포암종, 담도암 또는 간 전이를 동반한 고형암이 있는 시험대상자를 대상으로 경구 투여되는 단일 제제 RO7119929(TLR7 작용제)의 안전성, 약동학, 약력학, 예비 임상 활성 프로파일을 평가하는 최초 인체 적용, 공개, 용량 증량 제 1 상 임상시험'.

- 본 임상시험의 임상시험 계획서 번호: WP41377
- 본 임상시험의 ClinicalTrials.gov 식별자: NCT04338685
- 본 임상시험의 EudraCT 번호: 2019-002150-23