

## A klinikai vizsgálat eredményeinek összefoglalása

**Klinikai vizsgálat, mely lehetővé teszi a *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanómában szenvedő betegek részére a vemurafenib-kezelés folytatását, ha korábban befejezték a vemurafenib-kezelést egy másik klinikai vizsgálat részeként**

A vizsgálat teljes címét lásd az összefoglaló végén.

### Tudnivalók az összefoglalóról

Ez a vizsgálat résztvevőinek és a nagyközönségnek szóló összefoglaló a klinikai vizsgálat eredményeiről.

Ez az összefoglaló a megírásakor ismert információkon alapszik.

A vizsgálat 2013 februárjában kezdődött és 2020 februárjában ért véget. Ezt az összefoglalót a vizsgálat befejezése után írták.

Egyetlen vizsgálatból nem tudhatunk meg mindent egy gyógyszerkészítmény kockázatairól és előnyeiről. Sok emberre és számos vizsgálatra van szükség, hogy mindent kiderítsünk, amit szükséges tudni. Ennek a vizsgálatnak az eredményei eltérhetnek ugyanazon gyógyszerkészítménymás vizsgálataiban kapott eredményeitől.

- **Ez azt jelenti, hogy nem szabad döntést hoznia csak ezen összefoglaló alapján. Mindig beszéljen orvosával, mielőtt bármilyen döntést hozna a kezelésről**

#### Az összefoglaló tartalma

1. Általános tudnivalók a vizsgálatról
2. Ki vett részt ebben a vizsgálatban?
3. Mi történt a vizsgálat során?
4. Mik voltak a mellékhatások?
5. Hogyan segítette ez a vizsgálat a kutatást?
6. Vannak-e tervek más vizsgálatokra?
7. Honnan tudhatok meg többet?

### Köszönetnyilvánítás a vizsgálatban résztvevő személyeknek

A résztvevők segítettek a kutatóknak megválaszolni a bőrrák egyik típusával, a melanómával kapcsolatos fontos kérdéseket, és többet megtudni a vemurafenib gyógyszerkészítmény szedésének hosszú távú mellékhatásairól.

## 1. Általános tudnivalók a vizsgálatról

### Miért végezték ezt a vizsgálatot?

---

A melanoma a bőrrák egyik típusa. Különböző típusú melanomák ismertek, azonban a melanoma esetek több mint a fele a *BRAF* gén mutációjához köthető. Ezekben az esetekben nagyon gyakori a V600 mutáció, aminek eredményeként a BRAF enzim túl magas aktivitással működik és ez rák kialakulásához vezet. A melanomában szenvedő és a *BRAF* gén V600 mutációját hordozó embereket ebben a dokumentumban *BRAF* mutáció pozitív melanomában szenvedő betegeknek fogjuk nevezni.

A vemurafenib egy meglévő kezelés a *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanomában szenvedő betegeket részére. A kutatók több vizsgálatban tanulmányozták a vemurafenibet; 2011-ben egy BRIM-3 nevű vizsgálatban kimutatták, hogy a vemurafenib jól működött *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanomában szenvedő betegeknél, amitől lelassult a melanoma súlyosbodása és a betegek tovább éltek.

Ebben a vizsgálatban néhány résztvevő, akik részt vettek egy előző vemurafenib-vizsgálatban, folytatták a vemurafenib hosszú távú szedését, miután az előző vizsgálat befejeződött. A *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanomában szenvedő betegek számára nincs sok kezelési lehetőség, tehát a vemurafenib-kezelés folytatásának lehetséges előnyei meghaladhatják a lehetséges mellékhatásokat.

---

### Melyik gyógyszerkészítményt tanulmányozták?

A „vemurafenib” egy létező gyógyszerkészítmény, amelyet *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanomában szenvedő betegeknek adnak, ha a betegség áttért a test más területeire is vagy műtéttel nem távolítható el. A túlzottan aktív BRAF enzim megcélzásával a vemurafenib csökkenteni tudja a tumorok méretét és segít, hogy a melanomában szenvedő betegek tovább éljenek.

Ebben a vizsgálatban a vemurafenibet különböző dózisban adták a résztvevőknek attól függően, hogy az előző vizsgálatban mivel kezelték őket.

---

### Mit szerettek volna kideríteni a kutatók?

- A kutatók több vizsgálatot végeztek, hogy összehasonlítsák a vemurafenibet más gyógyszerkészítményekkel.
- Ebben a vizsgálatban néhány résztvevő, akik részt vettek egy előző vizsgálatban, folytatták a vemurafenib hosszú távú szedését, miután az előző vizsgálat befejeződött.
- A kutatók szerettek volna információt gyűjteni a vemurafenib hosszú távú szedésének biztonságosságáról.

---

### Milyen típusú volt ez a vizsgálat?

Ez egy „IV. fázisú” vizsgálat volt. Ez azt jelenti, hogy a vizsgálatot a vemurafenib engedélyezése után végezték, amikor az orvosok már adhatták ezt a gyógyszert a betegeknek. Ebben a vizsgálatban a kutatók a vemurafenib hosszú távú mellékhatásait értékelték.

Ez egy „nyílt, kiterjesztett” vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy a résztvevők, akik egy előző vizsgálatban vemurafenibet szedtek, ebben a vizsgálatban folytatták a vemurafenib szedését. A vizsgálatban résztvevők és az orvosok is tudták, hogy a résztvevők vemurafenibet kaptak.

## Mikor és hol zajlott a vizsgálat?

A vizsgálat 2013 februárjában kezdődött és 2020 februárjában ért véget. Ezt az összefoglalót a vizsgálat befejezése után írták.

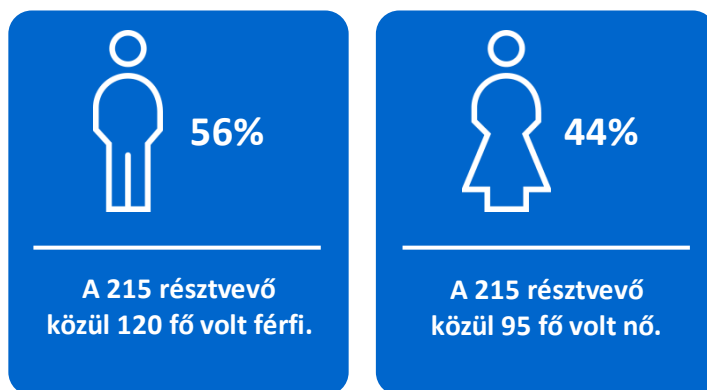
A vizsgálat 24 országban, 82 vizsgálati központban zajlott Ázsiában, Afrikában, Európában, Észak-Amerikában és Dél-Amerikában. Az alábbi térkép bemutatja, mely országokban végezték ezt a vizsgálatot.



- Fehéroroszország
- Bosznia-Hercegovina
- Brazília
- Kanada
- Horvátország
- Ciprus
- Egyiptom
- Franciaország
- Németország
- Görögország
- Magyarország
- Izrael
- Olaszország
- Dél-Korea
- Hollandia
- Új-Zéland
- Portugália
- Románia
- Oroszország
- Szerbia
- Dél-afrikai Köztársaság
- Spanyolország
- Egyesült Királyság
- Amerikai Egyesült Államok

## 2. Ki vett részt ebben a vizsgálatban?

Ebben a vizsgálatban 215 *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanómában szenvedő beteg vett részt. A résztvevők kor és nem szerinti eloszlása alább látható.



**Korosztály:** 21 és 86 év között.

A betegek akkor vehettek részt a vizsgálatban, ha:

- Egy specifikus típusú bőrrákkal, *BRAF*<sup>V600</sup> mutáció-pozitív melanomával diagnosztizáltak őket.
- Előzőleg egy korábbi vizsgálat részeként vemurafenibet szedtek, ami az elmúlt 15 napban ért véget.

A betegek akkor nem vehettek részt a vizsgálatban, ha:

- Biztonságossági okok miatt, vagy a betegség súlyosbodása miatt az előző vizsgálatban abbahagyták a vemurafenib szedését.

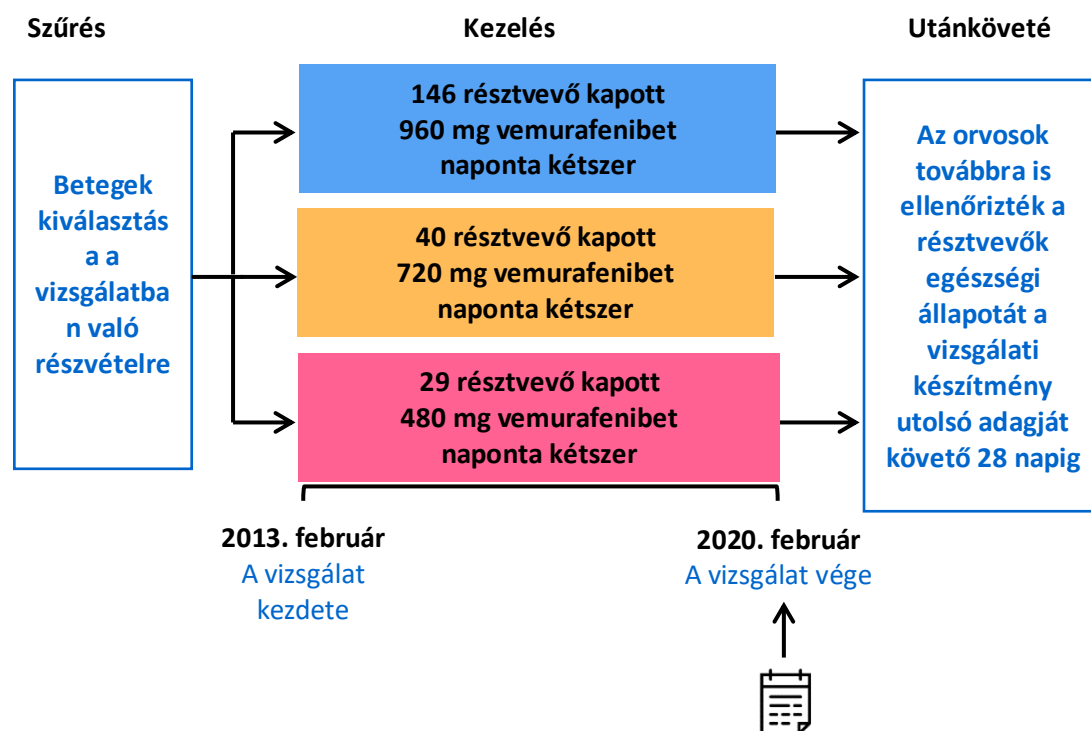
### 3. Mi történt a vizsgálat során?

A vizsgálat során a résztvevők szájon át szedhető vemurafenib tablettát kaptak. A résztvevők attól függően, hogy az előző vizsgálatban mit szedtek, különböző mennyiségű tablettát (azaz különböző dózist) kaptak. Minden tablettá 240 milligramm (mg) vemurafenibet tartalmazott.

A résztvevőket az alábbi csoportok egyikébe sorolták be:

- **A. csoport:** 960 mg vemurafenib (4 tablettá), naponta kétszer.
- **B. csoport:** 720 mg vemurafenib (3 tablettá), naponta kétszer.
- **C. csoport:** 480 mg vemurafenib (2 tablettá), naponta kétszer.

A résztvevőket a vizsgálatban addig kezelték, amíg a kezelés segített nekik. A vizsgálat befejezése után felkértük a résztvevőket, hogy az általános egészségi állapotuk ellenőrzése céljából menjenek vissza a vizsgálóhelyre. A vizsgálatról további információkat lásd alább.



Az idővonalon látható szimbólum (📅) azt mutatja, hogy az összefoglalóban található adatokat a vizsgálat kezdetétől 7 évig gyűjtötték.

#### 4. Mik voltak a mellékhatások?

A mellékhatások olyan nemkívánatos egészségügyi problémák (pl. szédülés), amelyek a vizsgálat alatt fordulhatnak elő, és lehet, hogy közvetlenül kapcsolódnak a vizsgálati kezeléshez, de lehet, hogy nem.

- Nem minden betegnél alakult ki az összes mellékhatás a vizsgálatban.
- Fontos tudnia, hogy az itt leírt mellékhatások ebből az egy vizsgálatból származnak. Ezért az itt leírt mellékhatások eltérhetnek a más vizsgálatokban megfigyeltektől, vagy a gyógyszerkészítmény betegtájékoztatójában leírtaktól.
- A mellékhatások az enyhétől a nagyon súlyosig terjedhetnek, és személyenként különbözőek lehetnek.
- Az alábbi részekben a súlyos és gyakori mellékhatások szerepelnek.

#### Súlyos mellékhatások

Egy mellékhatás akkor mondható „súlyosnak”, ha életveszélyes, kórházi kezelést igényel, vagy tartós problémát okoz.

Ebben a vizsgálatban 100 résztvevőből 27-nél (27%) jelentkezett legalább egy súlyos mellékhatás. A legalább egy súlyos mellékhatást tapasztaló résztvevők összesített száma az alábbi táblázatban látható csoportok szerinti.

| <b>A. csoport</b><br>960 mg vemurafenib | <b>B. csoport</b><br>720 mg vemurafenib | <b>C. csoport</b><br>480 mg vemurafenib |
|---|---|---|
| 20%<br>(29 a 146-ből)                   | 37,5%<br>(15 a 40-ből)                  | 48%<br>(14 a 29-ből)                    |

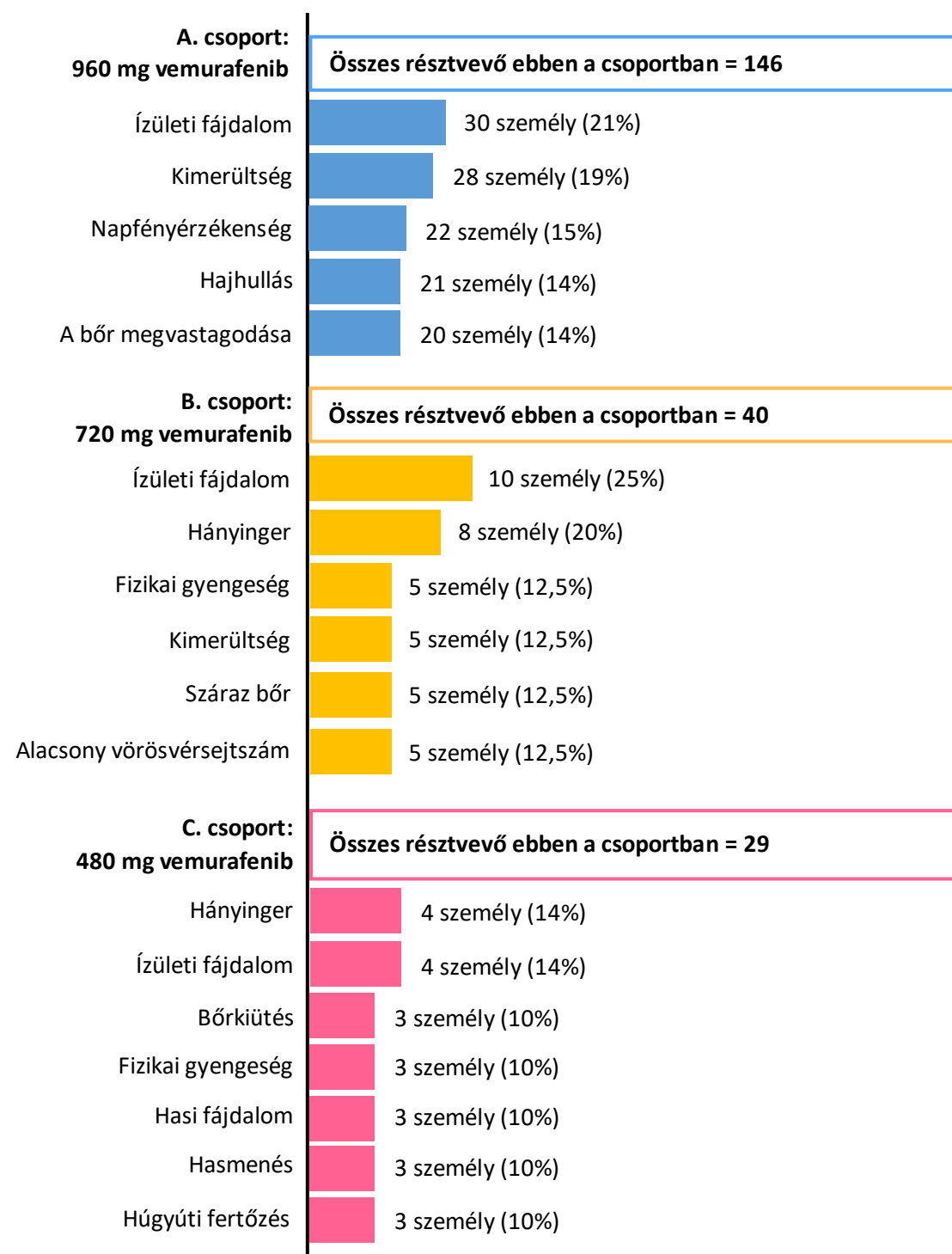
### Nem súlyos mellékhatások

Ebben a vizsgálatban 100 résztvevőből 79-nél (79%) jelentkezett legalább egy nem súlyos mellékhatás. A legalább egy mellékhatást tapasztaló résztvevők összesített száma az alábbi táblázatban látható csoportok szerinti.

| <b>A. csoport</b><br>960 mg vemurafenib | <b>B. csoport</b><br>720 mg vemurafenib | <b>C. csoport</b><br>480 mg vemurafenib |
|---|---|---|
| 82%<br>(119 a 146-ből)                  | 72,5%<br>(29 a 40-ből)                  | 72%<br>(21 a 29-ből)                    |

Az alábbi képen láthatók a leggyakoribb nem súlyos mellékhatások kezelési csoportok szerint: Néhány résztvevőnél, egynél több mellékhatás fordult elő, ez azt jelenti, hogy ők a képen egynél több sorban szerepelnek.

## Hány embernél fordultak elő ezek a nem súlyos mellékhatások?



## 5. Hogyan segítette ez a vizsgálat a kutatást?

Az itt szereplő információk egyetlen vizsgálatból származnak, amelyet 215  $BRAF^{V600}$  mutáció-pozitív melanómában szenvedő beteg bevonásával végeztek. Ezek az eredmények segítettek a kutatóknak többet megtudni a  $BRAF^{V600}$  mutáció-pozitív melanomáról és megérteni a vemurafenib hosszú távú mellékhatásait.

Ebben a vizsgálatban a vemurafenib által okozott mellékhatások kezelhetőek és várhatóak voltak, és az eredmények hasonlóan alakultak más, vemurafenibet vizsgáló tanulmány eredményeihez. A mellékhatások szintén hasonlóak voltak a vemurafenibet különböző dózisban szedő résztvevők esetében.

Egyetlen vizsgálatból nem tudhatunk meg mindent egy gyógyszerkészítmény kockázatairól és előnyeiről. Sok résztvevőre és számos vizsgálatra van szükség, hogy mindent kiderítsünk, amit szükséges tudni.

- **Ez azt jelenti, hogy nem szabad döntést hoznia ezen egyetlen összefoglaló alapján. Mindig beszéljen orvosával, mielőtt döntést hozna a kezeléséről.**

## 6. Vannak-e tervek más vizsgálatokra?

Jelenleg is zajlanak vemurafenib-vizsgálatok, valamint további vizsgálatok is tervben vannak.

## 7. Honnan tudhatok meg többet?

Erről a vizsgálatról az alább felsorolt weboldalakon tudhat meg többet:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show//NCT01739764>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=Go28399>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/an-extension--rollover--study-of-vemurafenib-in-participants-wit.html>

### Kihez forduljak, ha kérdéseim vannak erről a vizsgálatról?

Ha bármilyen további kérdése van a jelen összefoglaló elolvasása után:

- Látogasson el a ForPatients felületre, és töltsse ki a kapcsolatfelvételi űrlapot: <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/an-extension--rollover--study-of-vemurafenib-in-participants-wit.html>
- Vegye fel a kapcsolatot a Roche helyi irodájának képviselőjével.

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

- Beszéljen a vizsgáló orvossal vagy személyzettel a vizsgálati kórházban vagy klinikán.

Ha kérdése van a saját kezelésével kapcsolatban:

- Beszéljen a kezelőorvosával.

### Ki szervezte és finanszírozta ezt a vizsgálatot?

Ezt a vizsgálatot az F. Hoffmann-La Roche Ltd nevű vállalat szervezte és fizette, melynek székhelye Bazel, Svájc.

### A vizsgálat teljes címe, és egyéb azonosító adatok

A vizsgálat teljes címe: „A vemurafenib nyílt, kiterjesztett (rollover) vizsgálata olyan, BRAF<sup>V600</sup> mutációra pozitív malignitást mutató betegek esetében, akiket előzőleg egy vemurafenib protokollba bevontak”



- A vizsgálati terv száma: GO28399.
- A vizsgálat ClinicalTrials.gov azonosítója: NCT01739764.
- A vizsgálat EudraCT-száma: 2012-003144-80.