

Podsumowanie wyników badania klinicznego

Badanie oceniające działanie nowego leku (astegolimabu) w porównaniu z placebo – u pacjentów z wypryskiem (atopowym zapaleniem skóry)

Pełny tytuł badania znajduje się na końcu niniejszego podsumowania.

Informacje o podsumowaniu

Niniejszy dokument stanowi podsumowanie wyników badania klinicznego (zwanego w dalszej części „badaniem”).

Podsumowanie to sporządzono dla:

- opinii publicznej;
- pacjentów, którzy wzięli udział w badaniu.

Niniejsze podsumowanie jest oparte na informacjach znanych w momencie sporządzania.

Badanie rozpoczęło się w lutym 2019 r. i zostało zakończone w maju 2020 r. Niniejsze podsumowanie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Żadne pojedyncze badanie nie może dostarczyć nam pełnych informacji o zagrożeniach i korzyściach związanych z danym lekiem. Aby pomóc nam w uzyskaniu wszystkich niezbędnych informacji, wymagany jest udział wielu osób w kilku badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od wyników innych badań z zastosowaniem tego samego leku.

- **Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji wyłącznie na podstawie tego podsumowania.**
- **Przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących leczenia należy zawsze porozmawiać ze swoim lekarzem.**

Spis treści podsumowania

1. Informacje ogólne na temat tego badania
2. Kto brał udział w tym badaniu?
3. Co się działo w trakcie badania?
4. Jakie były wyniki badania?
5. Jakie były skutki uboczne?
6. W jaki sposób to badanie pomogło w prowadzeniu badań naukowych?
7. Czy planowane są inne badania?
8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

Dziękujemy osobom, które wzięły udział w tym badaniu

Osoby biorące udział w badaniu pomogły badaczom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące określonego rodzaju wysypki (atopowego zapalenia skóry) i badanego leku o nazwie „astegolimab” (znanego również jako MSTT1041A).

Najważniejsze informacje na temat tego badania

- Badanie to przeprowadzono, aby dowiedzieć się, czy astegolimab – nowy lek – jest skuteczny w leczeniu pacjentów z pewnym rodzajem wyprysku (atopowe zapalenie skóry).
- W tym badaniu pacjentom podawano astegolimab (badany lek) lub placebo (leczenie, które nie zawierało aktywnego leku). Decyzja o tym, jakie leczenie zostało podane każdej osobie została podjęta losowo.
- W badaniu wzięło udział 65 pacjentów w 3 krajach.
- U żadnej osoby biorącej udział w tym badaniu nie wystąpiły ciężkie skutki uboczne, które zostały uznane za spowodowane przez leczenie w ramach badania.
- Głównym wynikiem było to, że astegolimab nie był skuteczny u pacjentów z atopowym zapaleniem skóry. Sponsor badania postanowił nie kontynuować opracowywania astegolimabu dla pacjentów z atopowym zapaleniem skóry.

1. Informacje ogólne na temat tego badania

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Atopowe zapalenie skóry, w skrócie „**AZS**” to rodzaj wysypki, która dotyka 15–20% dzieci i 1–3% dorosłych. AZS jest również znane jako „wyprysk atopowy”.

AZS jest chorobą długotrwałą (**przewlekłą**). Wysypka cały czas powraca (**nawraca**). Występuje zaczerwienienie i ból (**stan zapalny**).

Wysypka wywołuje bardzo silne swędzenie skóry, powodując jej pękanie i powstawanie wysięku, a także przyczynia się do powstawania strupów i łuszczenia się skóry. Wysypka może prowadzić do zakażeń skóry. Choroba ta wiąże się z uciążliwymi dolegliwościami u pacjentów, powodując problemy ze snem i obniżając jakość życia.

W przypadku wielu pacjentów leczenie maścią – kortykosteroidami stosowanymi miejscowymi – w skrócie „TCS” – przynosi pewną ulgę.

W przypadku pacjentów z ciężką postacią AZS, którzy nie reagują na leczenie TCS, dostępnych jest kilka silniejszych leków. Chociaż silniejsze leki są skuteczne, pacjenci przestają je stosować z powodu skutków ubocznych.

Istnieje zapotrzebowanie na nowsze leki powodujące mniej skutków ubocznych – które działają skutecznie u pacjentów z ciężką postacią AZS.

Badacze uważają, że nowe leki kontrolujące stan zapalny mogą być pomocne. W tym badaniu badacze chcieli przetestować nowy lek na stan zapalny, zwany „astegolimabem”, wśród pacjentów z ciężką postacią AZS.

Jaki lek był badany?

Astegolimab, znany również jako **MSTT1041A** to lek, który był podawany ludziom w innych badaniach i okazał się bezpieczny dla ludzi. Lek ten działa w następujący sposób:

- **IL-33** to cząsteczka uwalniana przez organizm w odpowiedzi na stan zapalny.
- IL-33 wiąże się z **receptorami ST2** obecnymi w organizmie.
- Astegolimab jest rodzajem leku znanego jako „**przeciwciało**”, który również wiąże się z receptorami ST2.
- Kiedy astegolimab jest związany z receptorami ST2, zakłóca działanie IL-33, próbując wiązać się z tymi samymi receptorami. Uniemożliwiając wiązanie się IL-33 z receptorami ST2, pacjenci mogą zauważyć poprawę w przebiegu AZS.

Astegolimab porównywano z „**placebo**”.

- W tym badaniu niektórzy pacjenci otrzymywali astegolimab podczas gdy inni otrzymywali placebo.
- Placebo wyglądało tak samo jak astegolimab, ale nie zawierało żadnego prawdziwego leku.

Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

Badacze przeprowadzili to badanie, aby porównać astegolimab z placebo – aby sprawdzić, jak dobrze działał astegolimab (patrz punkt 4 „Jakie były wyniki badania?”).

Główne pytanie, na które chcieli odpowiedzieć badacze, było następujące:

1. Czy astegolimab działa skutecznie w porównaniu z placebo?

Jakiego rodzaju było to badanie?

To badanie można opisać na kilka sposobów.

- **Badanie fazy II**
Badania fazy II są prowadzone w celu sprawdzenia, czy badany lek działa skutecznie u pacjentów. Badanie to przeprowadzono po badaniach fazy I, w których oceniano, które dawki leków były bezpieczne dla zdrowych osób.
- **Badanie zrandomizowane**
Komputer losowo zdecydował, który pacjent dołączył do grupy otrzymującej aktywny lek, a który pacjent dołączył do grupy otrzymującej placebo. Badacze i pacjenci nie mieli nad tym kontroli.
- **Badanie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby**
Badacze i pacjenci nie wiedzieli, który pacjent otrzymuje badany lek, a który pacjent otrzymuje placebo. Na tym właśnie polega badanie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby.
- **Badanie kontrolowane placebo**
Niektórzy pacjenci otrzymywali astegolimab, podczas gdy inni otrzymywali placebo. Taka procedura miała na celu zastosowanie leczenia u wszystkich pacjentów i porównanie, jak naprawdę działa badany lek w porównaniu z placebo.

Kiedy i gdzie prowadzono badanie?

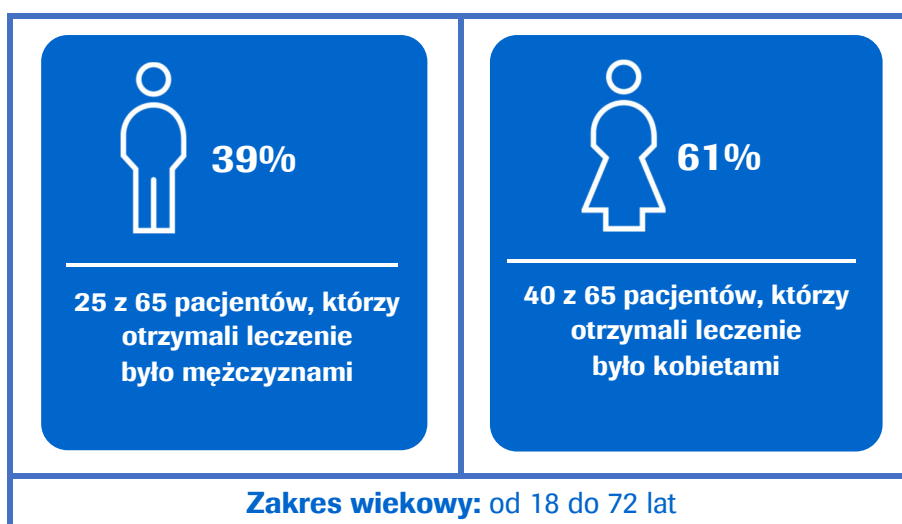
Badanie rozpoczęło się w lutym 2019 r. i zostało zakończone w maju 2020 r. Niniejsze podsumowanie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Badanie było prowadzone w 21 ośrodkach badawczych w 3 krajach:

- w USA (15 ośrodków badawczych)
- w Polsce (5 ośrodków badawczych)
- w Niemczech (1 ośrodek badawczy)

2. Kto brał udział w tym badaniu?

Do badania włączono 65 pacjentów z AZS o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego.



Pacjenci mogli wziąć udział w badaniu, jeśli spełnili wszystkie z poniższych warunków:

- Wiek od 18 do 75 lat.
- Wskaźnik masy ciała od 18 do 40 kg/m² i masa ciała co najmniej 40 kg.
- Zdolność do zrozumienia i udzielenia odpowiedzi na pytania związane z badaniem.
- Uzyskanie określonych wyników ocen w kwestionariuszach dotyczących choroby.
- Brak odpowiedzi na aktualnie przyjmowane leki na AZS w wywiadzie.
- Stosowanie kremu nawilżającego dwa razy na dobę przez co najmniej 7 dni przed rozpoczęciem badania.
- Stosowanie metod planowania rodziny.

Pacjenci nie mogli wziąć udziału w badaniu, jeśli spełnili dowolne z poniższych warunków:

- Osoby, które były wcześniej leczone astegolimabem.
- Kobiety karmiące piersią, w ciąży lub rozważające zajście w ciążę.
- Osoby, które w przeszłości stosowały określone leki.
- Osoby, u których wystąpiły zakażenia wymagające leczenia 1-2 tygodnie przed rozpoczęciem badania.
- Osoby z określonymi chorobami w wywiadzie.

3. Co się działo w trakcie badania?

„**Leczeniem**” był badany lek lub placebo. Pacjenci nie wiedzieli, jakie leczenie otrzymują.

Grupy leczenia obejmowały:

- Astegolimab – 490 mg
- Placebo – brak leku

Jak i kiedy podawano leczenie?

Każde leczenie obejmowało podanie 4 wstrzyknień w okolicy brzucha (podskórne wstrzyknięcia w brzuch). Leczenie (4 wstrzyknięcia) podano w Dniu 1, a następnie raz na 4 tygodnie – w Tygodniu 4, 8 i 12. Ponadto w Tygodniu 1 podano dwa wstrzyknięcia.

Co działo się po rozpoczęciu leczenia?

Pacjenci otrzymywali leczenie do Tygodnia 16. Badanie zakończyło się w Tygodniu 24. Pacjenci przyjeżdżali do ośrodka w celu otrzymania leczenia, a także odbyli wizytę na zakończenie badania. Podczas wizyty pacjenci oddawali próbki krwi i byli poddawani innym badaniom diagnostycznym do celów badania. Pacjenci odpowiadali na pytania, aby badacze mogli dowiedzieć się o innych skutkach leczenia. Lekarze zapewnili leczenie wszelkich skutków ubocznych.

4. Jakie były wyniki badania?

Po zakończeniu badania uzyskane wyniki przeanalizowano dla:

- 34 pacjentów, którzy otrzymali astegolimab.
- 31 pacjentów, którzy otrzymywali placebo.

Spośród wszystkich sześćdziesięciu pięciu pacjentów czterdziestu ośmiu otrzymało wszystkie 5 dawek leczenia w ramach badania.

Pytanie 1: Czy astegolimab działa skutecznie w porównaniu z placebo?

Badacze dowiedzieli się, że pacjenci, którzy otrzymywali astegolimab, nie czuli się lepiej po 16 tygodniach leczenia – podobnie jak pacjenci, którzy otrzymywali placebo.

W tej części przedstawiono tylko kluczowe wyniki tego badania. Informacje na temat wszystkich innych wyników można znaleźć na stronach internetowych, których adresy są wymienione na końcu niniejszego podsumowania (patrz punkt 8).

5. Jakie były skutki uboczne?

Skutki uboczne to problemy zdrowotne (takie jak zawroty głowy), które występują podczas badania.

- Zostały one opisane w niniejszym podsumowaniu, ponieważ lekarz prowadzący badanie uważa, że skutki uboczne były związane z leczeniem w ramach badania.
- Nie u wszystkich pacjentów biorących udział w tym badaniu wystąpiły wszystkie z wymienionych skutków ubocznych.
- Skutki uboczne mogą być łagodne lub bardzo poważne i mogą być różne u różnych osób.
- Ważne jest, aby mieć świadomość, że zgłaszane tutaj skutki uboczne pochodzą z tego jednego badania. W związku z tym przedstawione tutaj skutki uboczne mogą różnić się od tych obserwowanych w innych badaniach lub tych, które pojawiają się w ulotce leku.
- W kolejnych punktach wymieniono ciężkie i częste skutki uboczne.

Ciężkie skutki uboczne

Skutek uboczny uznaje się za „ciężki”, jeżeli zagraża życiu, wymaga hospitalizacji lub powoduje długotrwałe problemy.

Nie stwierdzono żadnych ciężkich skutków ubocznych, które uznano za związane z leczeniem stosowanym w tym badaniu.

W tym badaniu nie odnotowano żadnych zgonów.

Najczęstsze skutki uboczne

W tym badaniu nie zaobserwowano „**tendencji**” dotyczącej liczby skutków ubocznych. Oznacza to, że pacjenci nie zgłaszali mniejszej liczby skutków ubocznych związanych z przyjmowaniem placebo, ani większej liczby skutków ubocznych związanych z badanym lekiem.

Skutki uboczne, które uznano za spowodowane przez leczenie stosowane w tym badaniu, zgłoszono u 5 pacjentów (16%), którzy otrzymywali placebo i 2 pacjentów (6%), którzy otrzymywali astegolimab.

| Skutki uboczne leczenia astegolimabem (2 pacjentów) | Skutki uboczne leczenia placebo (5 pacjentów) |
|---|---|
| Wysypka i AZS | AZS i nadkażenie bakteryjne |
| Kamienie nerkowe (kamica nerkowa) i wysoka liczba krwinek białych (neutrofilia) | Zakażenie jamy ustnej (opryszczka wargowa) |
| | Ból w miejscu wstrzyknięcia |
| | Rozstrój żołądka (wirusowe zapalenie żołądka i jelit) |
| | Zapalenie oka (zapalenie rogówki) |

Żaden z pacjentów nie przerwał leczenia z powodu jakichkolwiek skutków ubocznych spowodowanych przez leczenie w ramach badania.

Inne skutki uboczne

Informacje na temat innych skutków ubocznych (niepodanych w powyższych punktach) można znaleźć na stronach internetowych wymienionych na końcu niniejszego podsumowania – patrz punkt 8.

6. W jaki sposób to badanie pomogło w prowadzeniu badań naukowych?

Przedstawione tu informacje pochodzą z jednego badania, w którym uczestniczyło 65 pacjentów. Uzyskane wyniki pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat AZS i astegolimabu.

Badacze stwierdzili, że pomimo potencjalnej przydatności astegolimabu w blokowaniu IL-33, lek ten nie był przydatny dla pacjentów z AZS.

Badacze dowiedzieli się również, że badany lek był tak samo bezpieczny jak placebo u pacjentów z AZS.

Żadne pojedyncze badanie nie może dostarczyć nam pełnych informacji o zagrożeniach i korzyściach związanych z danym lekiem. Aby pomóc nam w uzyskaniu wszystkich niezbędnych informacji, wymagany jest udział wielu osób w wielu badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od wyników innych badań z zastosowaniem tego samego leku.

- **Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji wyłącznie na podstawie tego podsumowania.**
- **Przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących leczenia należy zawsze porozmawiać ze swoim lekarzem.**

7. Czy planowane są inne badania?

W momencie sporządzania niniejszego podsumowania nie planuje się żadnych dalszych badań nad astegolimabem stosowanym w leczeniu atopowego zapalenia skóry, mimo że lek ten może być opracowywany w celu leczenia innych chorób.

8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

Więcej informacji na temat tego badania można znaleźć w witrynach internetowych wymienionych poniżej:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03747575>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/a-study-to-assess-the-efficacy-and-safety-of-mstt1041a--54098.html>

Z kim mogę się skontaktować w razie pytań dotyczących tego badania?

W razie dalszych pytań po przeczytaniu niniejszego podsumowania można:

- odwiedzić platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- skontaktować się z przedstawicielem w lokalnym biurze firmy Roche.

Jeśli uczestniczył Pan/uczestniczyła Pani w tym badaniu i ma jakiegokolwiek pytania dotyczące wyników:

- proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie lub personelem ośrodka badawczego.

W razie pytań dotyczących własnego leczenia:

- proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym leczenie.

Kto zorganizował i sfinansował to badanie?

To badanie zostało zorganizowane i sfinansowane przez spółkę Genentech, Inc., South San Francisco, CA, Stany Zjednoczone. Genentech należy do spółki F. Hoffmann-La Roche Ltd. z siedzibą w Bazylei w Szwajcarii.

Pełny tytuł badania i inne informacje identyfikacyjne

Pełny tytuł tego badania to:

„Randomizowane, wieloośrodkowe, prowadzone metodą podwójnie ślepej próby z grupą kontrolną otrzymującą placebo badanie fazy II mające na celu ocenę skuteczności i bezpieczeństwa stosowania MSTT1041A u pacjentów z atopowym zapaleniem skóry o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego.”

- Badanie nosi nazwę „**ZARNIE**”.
- Numer protokołu tego badania to **GS40965**.
- Identyfikator ClinicalTrials.gov tego badania to **NCT03747575**.
- Numer EudraCT tego badania to **2018-003429-27**.