

Resultater af klinisk forsøg – sammendrag til lægperson

Et forsøg, der skal undersøge, om pirfenidon har haft en effekt hos personer med uklassificerbar interstitiel lungesygdom – og hvor sikkert lægemidlet har været

Forsøgets fulde titel fremgår til sidst i dette sammendrag.

Sammendragets indhold

1. Generelle oplysninger om forsøget
2. Hvem deltog i forsøget?
3. Hvad skete der under forsøget?
4. Hvad er resultaterne af forsøget?
5. Var der bivirkninger?
6. Hvordan har forsøget bidraget til forskningen?
7. Planlægges der andre forsøg?
8. Hvor kan jeg finde flere oplysninger?
9. Ordliste
10. Infografik

Om dette sammendrag

Dette sammendrag beskriver resultaterne af et klinisk forsøg (kaldet for "forsøg" i dette dokument) – og er beregnet for:

- Offentligheden
- Personer, som har deltaget i forsøget.

Dette sammendrag er baseret på den viden, der var tilgængelig på tidspunktet for dets udarbejdelse (september 2019). Der kan være opnået yderligere viden sidenhen.

Forsøget startede i maj 2017 og vil blive afsluttet i januar 2020. Forsøget består af to dele. Forsøgets første del undersøgte, hvor godt forsøgslægemidlet virkede, samt hvor sikkert det var. Forsøgets anden del vil fokusere på, hvor sikkert lægemidlet er.

Sammendraget omfatter resultater frem til november 2018. Sammendraget præsenterer alle resultaterne fra forsøgets første del. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag.

Enkeltstående forsøg kan ikke fortælle os noget om de risici og fordele, der er ved et lægemiddel. Det kræver et stort antal personer i mange forsøg at opnå al den viden, vi ønsker. Resultaterne af dette forsøg kan adskille sig fra andre forsøg med samme lægemiddel.

Det betyder, at du ikke bør træffe beslutninger baseret på dette enkeltstående sammendrag – tal altid med lægen, før du træffer en beslutning om din behandling.

Tak til de personer, som deltager i forsøget

De personer, som deltager i forsøget, hjælper forskerne med at besvare vigtige spørgsmål om uklassificerbar interstitiel lungesygd og pirfenidon.

Vigtige oplysninger om forsøget

- Forsøget er udført for at sammenligne pirfenidon (forsøgslægemidlet) med placebo hos personer med uklassificerbar interstitiel lungesygd
- I forsøget fik deltagerne enten:
 - 801 mg pirfenidon, som skulle indtages via munden tre gange dagligt
 - Placebo
- Det blev besluttet tilfældigt, hvilken behandling de enkelte deltagere skulle have
- Forsøget består af to dele. Første del undersøgte, hvor godt pirfenidon virkede – og hvor sikkert det var. Anden del vil fokusere på, hvor sikkert pirfenidon er
 - Sammendraget præsenterer resultaterne fra forsøgets første del. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag
- 253 personer i 14 lande deltog i forsøget
- Forsøget undersøgte en ny måde at måle lungefunktionen på ved at bede deltagerne om at måle deres egen lungefunktion i hjemmet hver dag
- Forsøget målte desuden lungefunktionen i forbindelse med hospitalsbesøg
- De apparater, som deltagerne fik med hjem for at måle deres lungefunktion, blev indstillet, så de fungerede bedst, hvis der blev foretaget tre målinger hver dag. I dette forsøg målte deltagerne deres lungefunktion en gang om dagen, så spirometret kunne ikke advare dem, hvis de havde gjort noget forkert.
 - Det betød, at spirometrene målte nogle lungefunktionsværdier, som ikke var mulige, og at forskerne ikke kunne få de oplysninger, de havde brug for, for at finde ud af om pirfenidon havde en virkning på lungefunktionen, når den blev målt i hjemmet
- Lungefunktionstesten, der blev udført på hospitalet, virkede efter hensigten og viste, at lungerne hos deltagere, som fik placebo, forværredes over 6 måneder sammenlignet med deltagere, som fik pirfenidon
- Mindre end 1 % af deltagerne (1 ud af 127 deltagere), der fik pirfenidon, oplevede alvorlige bivirkninger. Mindre end 1 % af deltagerne (1 ud af 124 deltagere), der fik placebo, oplevede alvorlige bivirkninger

1. Generelle oplysninger om forsøget

Hvorfor blev dette forsøg udført?

Interstitielle lungesygdomme (ILS) er sygdomme, hvor der er ardannelse i lungerne, og vejrtrækningen bliver besværet. Der findes mange forskellige former for ILS. UKlassificerbar ILS (uILS) er, når lægerne ikke er sikre på, hvilken form for ILS en person har.

Der findes ingen lægemidler til behandling af personer med uILS.

Lægemidlet "pirfenidon" hjælper personer med en form for ILS kaldet for idiopatisk lungefibrose (ILF). ILF og nogle former for uILS ligner hinanden på mange måder. Forskerne ønskede at få mere viden om, hvorvidt pirfenidon også kunne hjælpe personer med uILS.

Hvilket forsøgslægemiddel blev undersøgt?

Forsøget fokuserede på et lægemiddel, der kaldes for "pirfenidon" (Esbriet®).

- Pirfenidon virker ved at reducere ardannelsen – fibrose – i lungerne hos personer med ILF.
- Det kan betyde, at pirfenidon også kan reducere ardannelsen i lungerne hos personer med uILS.

Pirfenidon blev sammenlignet med "placebo".

- Det udtales "pla-see-bo".
- Kapslen med placebo lignede kapslen med pirfenidon, men indeholdt ikke noget lægemiddel. Det betyder, at den ikke havde nogen medicinsk virkning på kroppen.
- Forskerne sammenlignede pirfenidon med placebo, så de kunne vise, hvilke fordele eller bivirkninger, som pirfenidon reelt har.

Hvad ønskede forskerne at finde ud af?

- Forskerne udførte forsøget for at sammenligne pirfenidon med placebo med det formål at undersøge, hvor godt forsøgslægemidlet virker (se punkt 4 "Hvad er resultaterne af forsøget?").
- Forskerne ønskede desuden at finde ud af, hvor sikkert lægemidlet var ved at undersøge, hvor mange deltagere, der oplevede bivirkninger, når de tog pirfenidon eller placebo under forsøget (se punkt 5 "Var der bivirkninger?"),

Det primære spørgsmål, som forskerne ønskede at besvare, var:

1. Har pirfenidon en effekt på faldende lungefunktion over en 6-måneders periode, når den måles dagligt i hjemmet?

Andre spørgsmål, som forskerne ønskede at besvare, omfattede:

2. Har pirfenidon en effekt på faldende lungefunktion over en 6-måneders periode, når den måles i forbindelse med hospitalsbesøg?
3. Har pirfenidon en virkning på, hvor langt forsøgsparticipanterne kunne gå på 6 minutter?
4. Har forsøgsparticipanterne oplevet, at pirfenidon har mindsket deres symptomer?

Hvilket slags forsøg var det?

Forsøget var et "Fase 2" forsøg. Det betyder, at pirfenidon er blevet testet på en række personer, før dette forsøg – men dette var det første forsøg foretaget blandt personer med uLLS.

Forsøget var "randomiseret" Det betyder, de forsøgsdeltagere, som fik pirfenidon, blev tilfældigt udvalgt – som at slå plat eller krone. I dette forsøg tog personer med uLLS enten pirfenidon eller placebo.

Forsøget var "dobbeltblindt". Det betyder, at hverken forsøgsdeltagerne eller forsøgslægerne vidste, hvem, der tog pirfenidon.

Forsøg "blindes", så en eventuel virkning af lægemidlet ikke skyldes noget som deltagerne forventede ville ske, havde de vidst hvilket lægemiddel de tog.

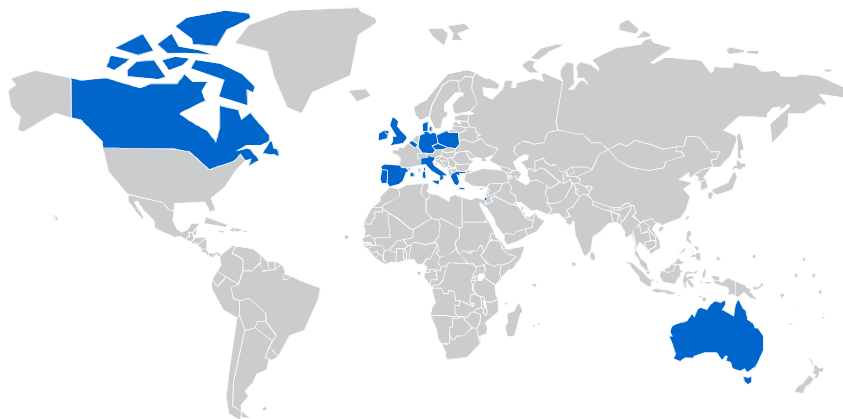
Hvornår og hvor fandt forsøget sted?

Forsøget startede i maj 2017 og vil blive afsluttet i januar 2020. Forsøget består af to dele. Forsøgets første del undersøgte, hvor godt forsøgslægemidlet virkede, samt hvor sikkert det var. Forsøgets anden del vil fokusere på, hvor sikkert lægemidlet er.

Sammendraget omfatter resultater frem til november 2018. Sammendraget præsenterer alle resultaterne fra forsøgets første del. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag.

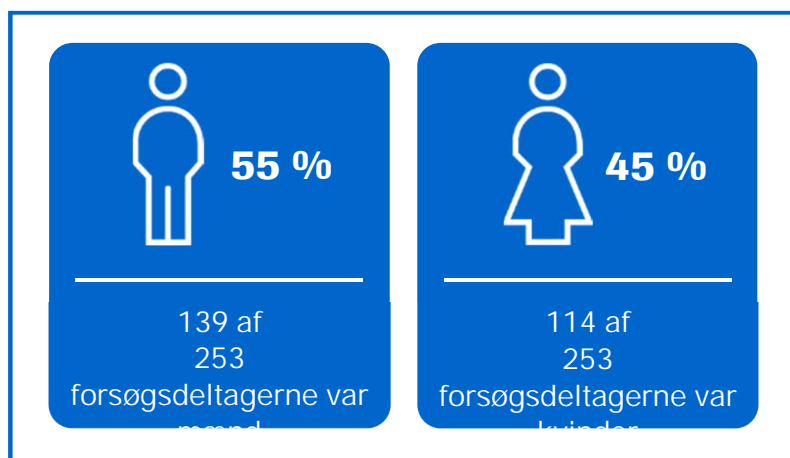
Forsøget fandt sted på 70 forsøgssteder i 14 lande. Nedenstående kort viser de lande, hvor forsøget fandt sted.

- Australien
- Belgien
- Canada
- Tjekkiet
- Danmark
- Tyskland
- Grækenland
- Irland
- Israel
- Italien
- Polen
- Portugal
- Spanien
- Storbritannien



2. Hvem deltog i forsøget?

253 voksne med uLLS deltog i forsøget.



Personer kunne deltage i forsøget, hvis de opfyldte følgende kriterier:

- De havde uLLS, som blev værre.
- Mere end 10 % af deres lungevæv viste tegn på ardannelse – fibrose.
- De havde mindst 45 % af den lungefunktion, man ville forvente hos en rask person på samme alder og af samme køn.

Personer kunne ikke deltage i forsøget, hvis de opfyldte følgende kriterier:

- De havde andre alvorlige helbredsproblemer.
- De tog visse former for medicin.
- De røg eller først var stoppet med at ryge inden for de seneste 3 måneder.

3. Hvad skete der under forsøget?

Under forsøget blev deltagerne udvalgt tilfældigt til at få en af de to behandlinger. Behandlingerne blev valgt tilfældigt af en computer.

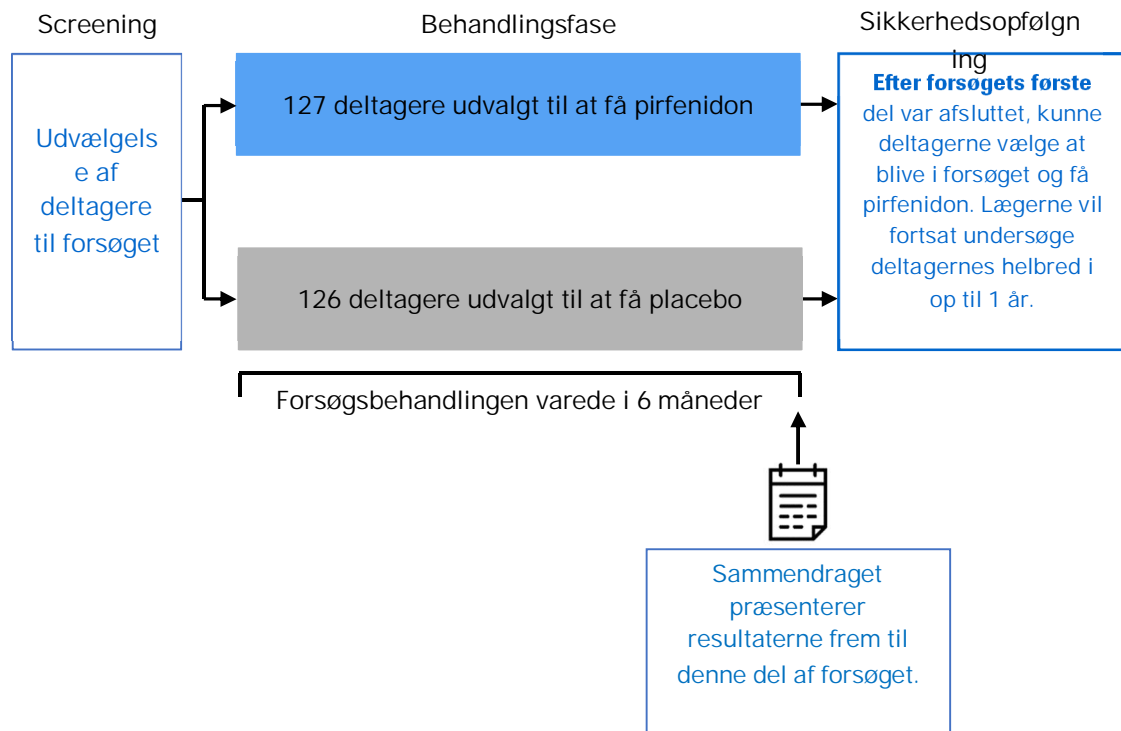
Deltagere i forsøget gennemgik behandlingen i 6 måneder. Deltagerne besøgte hospitalet 1 gang om måneden i 6 måneder, mens de gennemgik behandlingen. Denne del af forsøget kaldes for behandlingsfasen.

Der var følgende behandlingsgrupper:

- Pirfenidon (forsøgslægemidlet) – 801 milligram (801 mg) indtaget via munden tre gange dagligt.
- Placebo – indtaget via munden tre gange dagligt

Efter 6 måneder fik deltagerne i forsøget at vide, om de havde taget pirfenidon eller placebo i behandlingsfasen. Deltagerne kunne vælge at deltage i forsøgets anden del. Forsøgets anden del kaldes for sikkerhedsopfølgning. De deltagere, som tog pirfenidon i behandlingsfasen, fortsatte med at tage det under sikkerhedsopfølgningen. De deltagere, som tog placebo i behandlingsfasen, skiftede til pirfenidon under sikkerhedsopfølgningen. Sikkerhedsopfølgningen er stadig i gang, så der er stadig deltagere, som er i behandling med pirfenidon.

Sammendraget præsenterer resultaterne fra forsøgets behandlingsfase. Se nedenstående, for at få yderligere oplysninger om, hvad der skete under forsøget.



4. Hvad er resultaterne af forsøget?

Spørgsmål 1: Har pirfenidon en effekt på faldende lungfunktion over en 6-måneders periode, når den måles dagligt i hjemmet?

Forsøgsdeltagerne fik et apparat – et spirometer – til at tage med hjem. Spirometeret målte hvor meget luft, de kunne puste ud efter at have taget en så dyb indånding som muligt – forceret vitalkapacitet. Hver deltager målte deres forcerede vitalkapacitet dagligt i hjemmet.

- De apparater, som deltagerne fik med hjem for at måle deres lungfunktion, blev indstillet, så de fungerede bedst, hvis der blev foretaget tre målinger hver dag. I dette forsøg målte deltagerne deres lungfunktion en gang om dagen, så spirometret kunne ikke advare dem, hvis de havde gjort noget forkert.
- Det betød, at spirometrene målte nogle lungefunktionsværdier, som ikke var mulige, og at forskerne ikke kunne få de oplysninger, de havde brug for, for at finde ud af om pirfenidon havde en virkning på lungefunktionen, når den blev målt i hjemmet

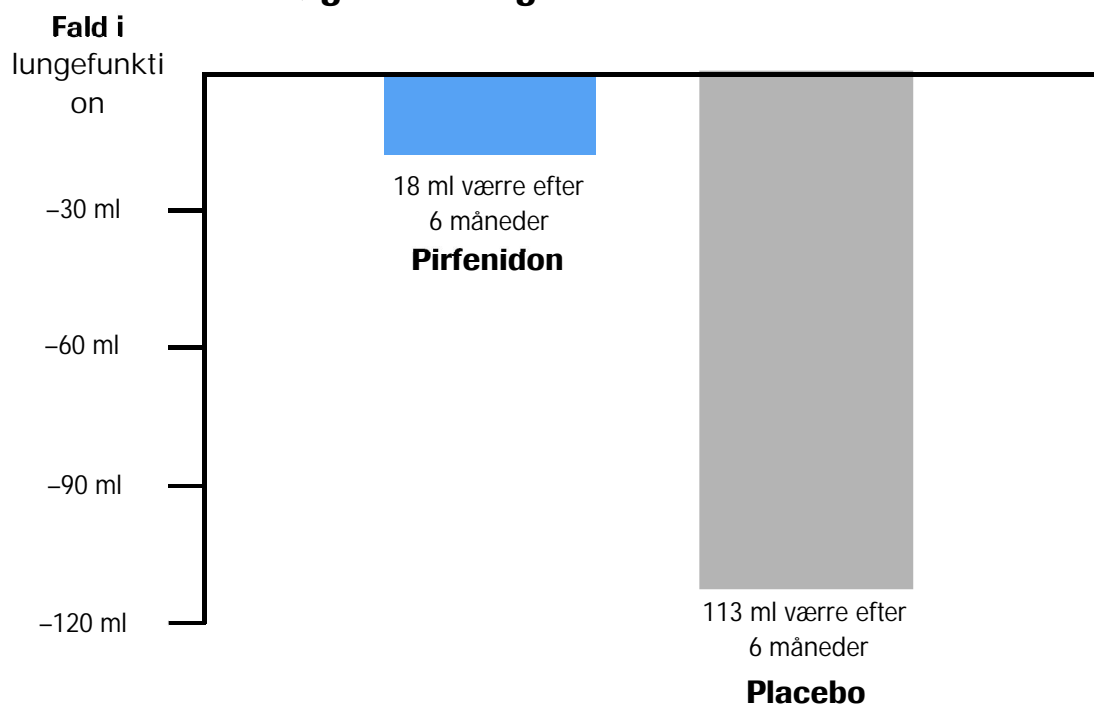
Spørgsmål 2: Har pirfenidon en effekt på faldende lungfunktion over en 6-måneders periode, når den måles i forbindelse med hospitalsbesøg?

Forskerne anvendte desuden den traditionelle metode til at måle lungefunktionen – forceret vitalkapacitet målt på hospitalet. Deltagerne fik målt deres lungfunktion på hospitalet en gang om måneden i en periode på 6 måneder.

Forskerne ønskede at finde ud af, hvor meget den forcerede vitalkapacitet ændrede sig mellem forsøgets start og efter 6 måneder. De sammenlignede ændringer hos hhv. pirfenidon- og placebo-grupperne for at undersøge, om der var en forskel.

- Lungefunktionen forværredes hos begge grupper.
- Lungefunktionen forværredes mere i gruppen, der tog placebo, sammenlignet med gruppen, der tog pirfenidon.

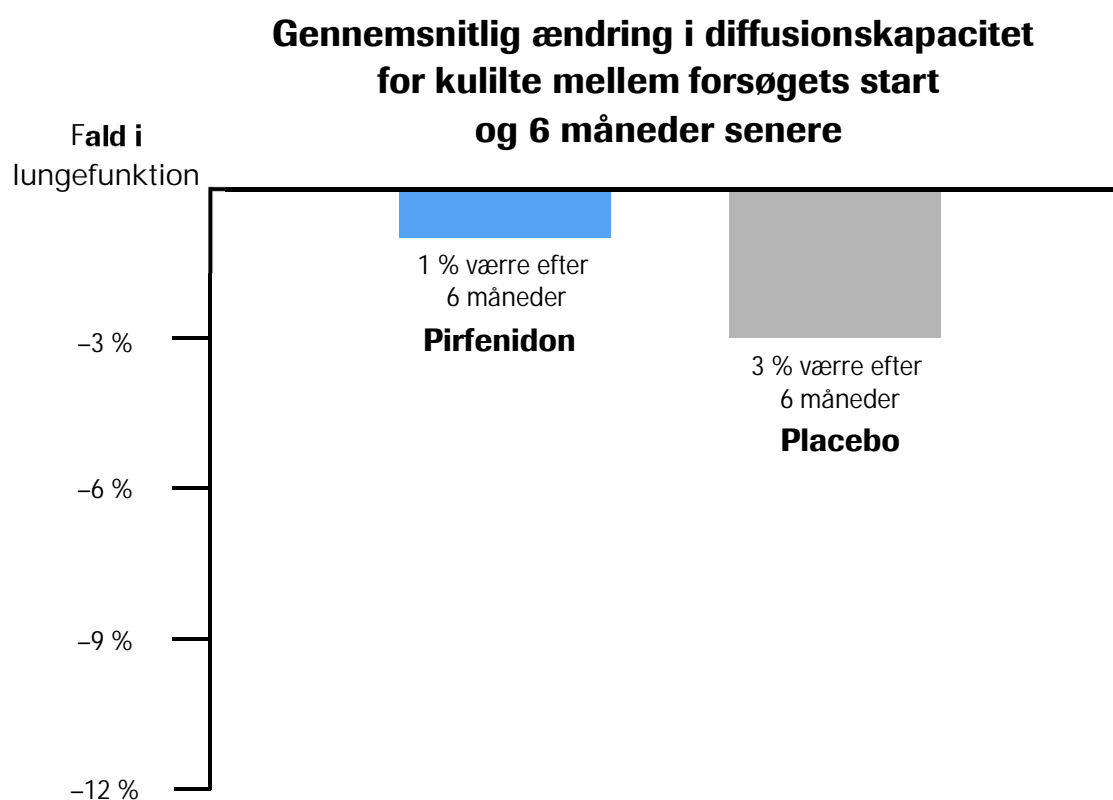
Gennemsnitlig ændring i forceret vitalkapacitet mellem forsøgets start og 6 måneder senere



Forceret vitalkapacitet er ikke den eneste måde at måle lungefunktionen på. Forskerne målte, hvor godt deltagernes lunger transporterede ilt ud i blodet – diffusionskapacitet for kulilte. Resultaterne blev præsenteret som en procentdel af den værdi, der forventes hos en rask person på samme alder og af samme køn. Hvis lungerne hos en person med uLLS eksempelvis transporterede ilt halvt så godt som hos en person uden uLLS, ville personen have en diffusionskapacitet for kulilte på 50 %.

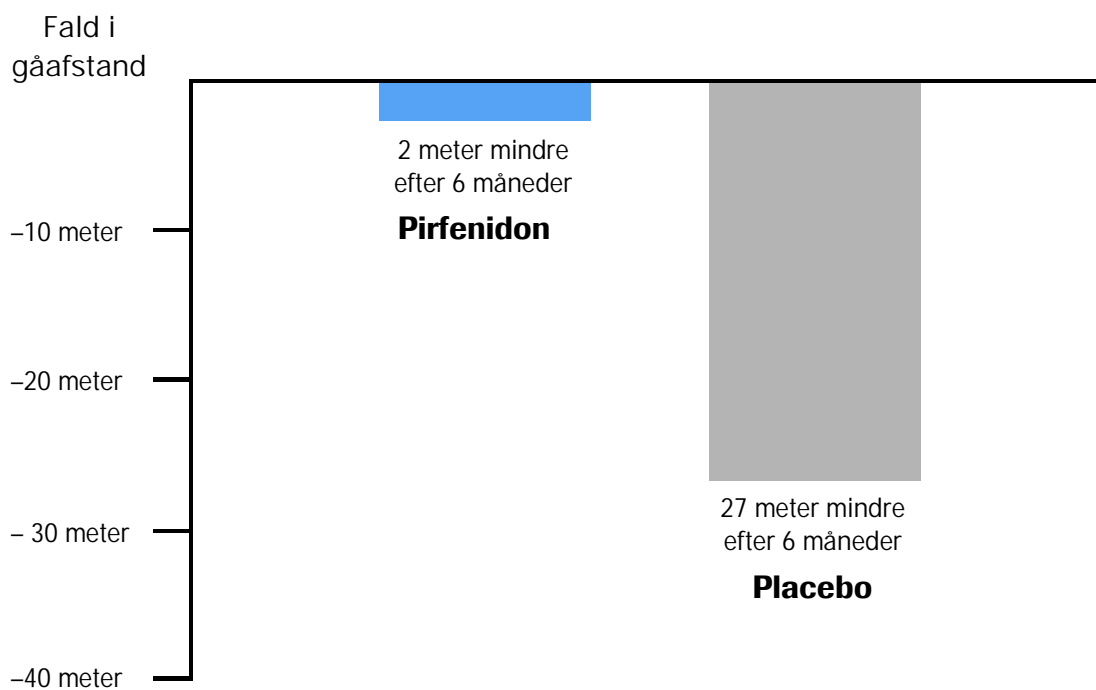
Forskerne ønskede at finde ud af, hvor meget diffusionskapaciteten for kulilte ændrede sig mellem forsøgets start og efter 6 måneder. De sammenlignede ændringer hos hhv. pirfenidon- og placebo-grupperne for at undersøge, om der var en forskel.

- Diffusionskapaciteten for kulilte forværredes i begge grupper.
- Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt på diffusionskapaciteten for kulilte.



Spørgsmål 3: Har pirfenidon en virkning på, hvor langt forsøgsdeltagerne kunne gå på 6 minutter?

Gennemsnitlig ændring i gåafstand over 6 minutter mellem forsøgets start og 6 måneder senere



Forskerne undersøgte desuden, hvor langt forsøgsdeltagerne kunne gå på 6 minutter – gåafstand over 6 minutter. De undersøgte gåafstanden over 6 minutter, fordi personer med ILS nemt kan blive stakåndede og have vanskeligt ved at gå lige så langt, som de har været vant til.

Forskerne ønskede at finde ud af, hvor meget gåafstanden over 6 minutter ændrede sig mellem forsøgets start og efter 6 måneder. De sammenlignede ændringer hos hhv. pirfenidon- og placebo-grupperne for at undersøge, om der var en forskel.

- Gåafstanden over 6 minutter blev mindre i begge grupper.
- Gåafstanden over 6 minutter blev mindre i gruppen, der tog placebo, sammenlignet med gruppen, der tog pirfenidon.

Spørgsmål 4: Har forsøgsdeltagerne oplevet, at pirfenidon har mindsket deres symptomer?

Symptomerne på uLS kan ikke fjernes helt, men nogle behandlinger kan hjælpe med at reducere, hvordan symptomerne påvirker hverdagen. Forskerne bad forsøgsdeltagerne om at udfylde en række spørgeskemaer, som spurgte ind til deres stakåndethed og hoste. Forskerne spurgte desuden deltagerne om deres generelle velbefindende – deres livskvalitet. Forskerne spurgte ind til deres velbefindende, fordi personer med ILS kan føle sig deprimerede eller begrænset af deres symptomer.

- Deltagere i hhv. pirfenidon- og placebo-gruppen gav enslydende svar på undersøgelse.
- Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt på stakåndethed, hoste eller livskvalitet.

5. Var der bivirkninger?

Bivirkninger – eller "uønskede hændelser" – er uønskede medicinske tilstande (som f.eks. hovedpine), der opstår under et forsøg.

- Bivirkninger beskrives i dette sammendrag, da forsøgslægerne mener, at bivirkningerne var forbundet med forsøgsbehandlinger (pirfenidon eller placebo). Bivirkningerne kunne være forbundet med placebo, fordi forsøgslægerne ikke vidste, om deltagerne tog pirfenidon eller placebo.
- Ikke alle forsøgsdeltagere havde alle bivirkningerne.

Alvorlige og almindelige bivirkninger fremgår af de følgende afsnit.

Alvorlige bivirkninger

En bivirkning anses for "alvorlig", hvis den er livstruende, kræver indlæggelse eller forårsager vedvarende problemer.

I forbindelse med dette forsøg, oplevede mindre end 1 ud af 100 deltagere (mindre end 1 %) mindst en alvorlig bivirkning. Mindre end 1 % af deltagerne, der fik pirfenidon, oplevede alvorlige bivirkninger. Mindre end 1 % af deltagerne, der fik placebo, oplevede alvorlige bivirkninger.

Der er indberettet to alvorlige bivirkninger i dette forsøg. En bivirkning opstod hos en deltager, som tog pirfenidon, og den anden opstod hos en deltager, som tog placebo.

	Deltagere, der tager pirfenidon (127 deltagere i alt)	Deltagere, der tager placebo (124 deltagere i alt)
Indberetninger af alvorlige bivirkninger i dette forsøg.	Mindre sultfølelse Under 1 % (1 ud af 127 deltagere)	Leverproblemer Under 1 % (1 ud af 124 deltagere)

Ingen deltagere døde under forsøget som følge af bivirkninger, der kan relateres til et af forsøgslægemidlerne.

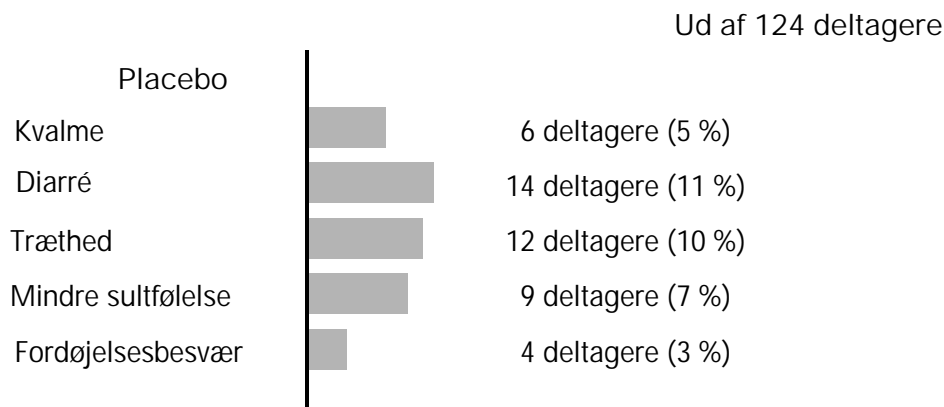
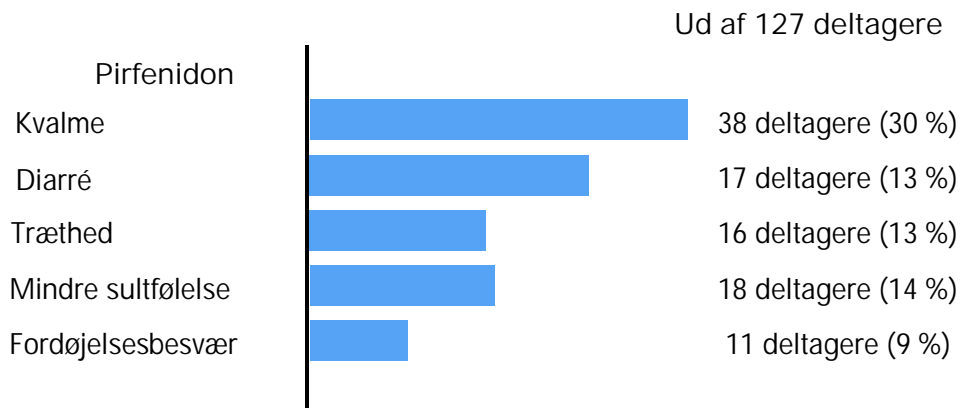
Nogle deltagere valgte at stoppe med at tage lægemidlet under forsøget:

- I pirfenidon-gruppen stoppede 25 ud af 127 deltagere (20 %) med at tage lægemidlet. Hos 16 ud af 127 deltagere (13 %) skyldtes dette en bivirkning forbundet med lægemidlet.
- I placebo-gruppen stoppede 10 ud af 124 deltagere (8 %) med at tage lægemidlet. Hos 1 ud af 124 deltagere (mindre end 1 %) skyldtes dette en bivirkning forbundet med lægemidlet.

Mest almindelige bivirkninger

Tæt på 60 ud af hver 100 deltagere (59 %) oplevede en bivirkning i forbindelse med forsøget. Cirka 71 % af de deltagere, der tog pirfenidon, oplevede en bivirkning, sammenlignet med 46 % af de deltagere, der tog placebo.

De mest almindelige bivirkninger fremgår af nedenstående grafik – disse var de mest almindelige bivirkninger blandt alle forsøgsdeltagere.



Andre bivirkninger

Du kan finde information om andre bivirkninger, som ikke fremgår af ovenstående, på de hjemmesider, der er angivet i slutningen af dette sammendrag – se punkt 8.

6. Hvordan har forsøget bidraget til forskningen?

De oplysninger, der præsenteres i dette sammendrag, kommer fra et enkelt forsøg med 253 deltagere med uLLS. Disse resultater har hjulpet forskerne med at opnå mere viden om uLLS og pirfenidon.

Forsøget undersøgte en ny måde at måle lungefunktionen på ved at bede deltagerne om at måle deres egen lungefunktion i hjemmet hver dag. De apparater, som deltagerne fik med hjem for at måle deres lungefunktion, blev dog indstillet, så de fungerede bedst, hvis der blev foretaget tre målinger hver dag. I dette forsøg målte deltagerne deres lungefunktion en gang om dagen, så spirometret kunne ikke advare dem, hvis de havde gjort noget forkert. Det betød, at spirometrene målte nogle lungefunktionsværdier, som ikke var mulige, og at forskerne ikke kunne få de oplysninger, de havde brug for, for at finde ud af om pirfenidon havde en virkning på lungefunktionen, når den blev målt i hjemmet. Forskerne skal finde ud af, hvordan de skal indstille apparaterne, så samme problem ikke opstår i fremtidige kliniske forsøg.

Forsøgsdeltagerne skulle desuden møde op på hospitalet for at få målt deres lungefunktion, og hvor langt de kunne gå på 6-minutter. Selvom den forcerede vitalkapacitet og gåafstanden over 6 minutter blev dårligere i både pirfenidon- og placebo-gruppen, blev deltagere, som tog placebo, endnu dårligere end deltagere, der tog pirfenidon.

Forskerne målte også, hvor godt deltagernes lunger transporterede ilt ud i blodet – diffusionskapacitet for kulilte. Diffusionskapaciteten for kulilte blev dårligere i begge behandlingsgrupper. Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt på diffusionskapaciteten for kulilte.

Forsøgsdeltagerne udfyldte spørgeskemaer om deres stakåndethed, hoste og generelle velbefindende – deres livskvalitet. Deltagere i hhv. pirfenidon- og placebo-gruppen gav enslydende svar på undersøgelsen. Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt på stakåndethed, hoste eller livskvalitet.

Forskerne undersøgte desuden de medicinske problemer, som deltagerne havde under forsøget. Mindre end 1 % af deltagerne, der tog pirfenidon, oplevede alvorlige bivirkninger. Cirka 71 % af de deltagere, der tog pirfenidon, oplevede en bivirkning, sammenlignet med 46 % af de deltagere, der tog placebo.

Enkeltstående forsøg kan ikke fortælle os noget om de risici og fordele, der er ved et lægemiddel. Det kræver et stort antal personer i mange forsøg at opnå al den viden, vi ønsker. Resultaterne af dette forsøg kan adskille sig fra andre forsøg med samme lægemiddel.

- Det betyder, at du ikke bør træffe beslutninger baseret på dette enkeltstående sammendrag – tal altid med lægen, før du træffer en beslutning om din behandling.

7. Planlægges der andre forsøg?

Der planlægges på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag ingen yderligere forsøg for at undersøge pirfenidon i forbindelse med uLLS.

Forsøget startede i maj 2017 og vil blive afsluttet i januar 2020. Forsøget består af to dele. Forsøgets første del undersøgte, hvor godt forsøgslægemidlet virkede, samt hvor sikkert det var. Forsøgets anden del vil fokusere på, hvor sikkert lægemidlet er.

Sammendraget omfatter resultater frem til november 2018. Sammendraget præsenterer alle resultaterne fra forsøgets første del. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag.

8. Hvor kan jeg finde flere oplysninger?

Du kan finde yderligere oplysninger om forsøget på nedenstående hjemmesider:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03099187>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2016-002744-17>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>

Hvis du ønsker at få mere at vide om resultaterne af forsøget, er den fulde titel på den videnskabelige undersøgelse: "Pirfenidon hos patienter med uklassificerbar progressiv fibroserende interstitiel lungesygdom: et dobbeltblindt, randomiseret, placebokontrolleret fase 2-forsøg." Forfatterne af den videnskabelige undersøgelse er: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer et. al. Undersøgelsen er publiceret i "Lancet Respiratory Medicine".

Hvem kan jeg kontakte, hvis jeg har spørgsmål om forsøget?

Hvis du har yderligere spørgsmål efter at have læst dette sammendrag:

- Gå ind på ForPatients-platformen og udfyld kontaktformularen – <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>
- Kontakt en repræsentant fra dit lokale Roche-kontor.

Hvis du deltog i forsøget og har spørgsmål til resultaterne:

- Tal med forsøgslægen eller personalet på forsøgshospitalet eller -klinikken.

Hvis du har spørgsmål om din egen behandling:

- Tal med lægen, som står for din behandling.

Hvem stod bag og betalte for forsøget?

Dette forsøg er udarbejdet og betalt af F.Hoffmann-La Roche Ltd., som har hovedsæde i Basel, Schweiz. Forsøget blev oprindeligt udviklet som en del af et NIHR-sponsoreret Clinician Scientist Fellowship tildelt Professor Toby M. Maher (NIHR Ref: CS-2013-13-017) og er efterfølgende blevet tilpasset efter drøftelser med F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Forsøgets fulde titel og andre identificerende oplysninger

Forsøgets fulde titel er: Multicenter, internationalt, dobbeltblindt, 2-armet, randomiseret, placebokontrolleret fase II-forsøg med pirfenidon hos patienter med uklassificerbar progressiv fibroserende ILS".

- Forsøgets protokolnummer er: MA39189.
- Forsøgets ClinicalTrials.gov-identifikation er: NCT03099187.
- Forsøgets EudraCT-nummer er: 2016-002744-17.

9. Ordliste

Gåafstand over 6 minutter	Hvor langt en person kan gå på 6 minutter på en plan overflade
Diffusionskapacitet for kulilte	Hvor godt en persons lunger transporterer ilt til blodet
Klinisk forsøg	<p>Et forsøg, hvor forskere giver en gruppe personer et lægemiddel</p> <p>Forskerne følger regelmæssigt op på de personer, som tager lægemidlet, og foretager undersøgelser</p> <p>Kliniske forsøg har til formål at afklare, om et nyt lægemiddel er sikkert, har bivirkninger, virker bedre end aktuelt anvendte lægemidler, og om det får patienterne til at få det bedre</p>
Dobbelblindt	<p>Nogle kliniske forsøg omfatter mere end en behandling, som forskerne ønsker at sammenligne. Mange kliniske forsøg inkluderer bl.a.:</p> <ul style="list-style-type: none">• Forsøgslægemiddel• Placebo <p>Et "dobbelblindt" forsøg betyder, at hverken dem, der deltager i forsøget, eller forsøgslægerne ved, hvem af deltagerne, som tager forsøgslægemidlet, og hvem af deltagerne, som tager placebo</p>
Træthed	Følelse af træthed
Fibrose	Ardannelse
Forceret vitalkapacitet	Hvor meget luft en person kan puste ud efter at have taget en så stor vejrtrækning som mulig
Idiopatisk lungefibrose (ILF)	<p>En sygdom, hvor der er ardannelse i lungerne, og vejrtrækningen bliver besværet</p> <p>Idiopatisk lungefibrose er en form af interstitiel lungesygdom</p>
Interstitiel lungesygdom	En gruppe af sygdomme, hvor der er ardannelse i lungerne, og vejrtrækningen bliver besværet
Lungefunktion	Hvor godt lungerne fungerer
Kvalme	At have det dårligt

Pirfenidon (Esbriet®)	<p>Et lægemiddel, der bruges til at behandle personer med idiopatisk lungefibrose</p> <p>Pirfenidon virker ved at reducere ardannelsen i lungerne hos personer med idiopatisk lungefibrose</p>
Fase 2-forsøg	<p>Fase 2-forsøg finder sted efter et lægemiddel er blevet undersøgt hos personer uden nogen helbredsproblemer</p> <p>Et fase 2-forsøg har til formål at vise, at lægemidlet reelt gavner personer med et helbredsproblem</p>
Placebo	<p>En behandling som led i et klinisk forsøg, som ikke indeholder noget lægemiddel</p> <p>Personer, som deltager i et klinisk forsøg, vil enten få:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Det faktiske forsøgslægemiddel • Placebo, som ligner forsøgslægemidlet <p>Placebo hjælper forskerne med at påvise de fordele eller bivirkninger, der er ved lægemidlet</p>
Livskvalitet	Overordnet velbefindende
Randomiseret	<p>Nogle kliniske forsøg omfatter mere end en behandling, som forskerne ønsker at sammenligne. Mange kliniske forsøg inkluderer bl.a.:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Forsøgslægemiddel • Placebo <p>Randomiseret betyder, at behandlingen, som de enkelte personer i forsøget får, er valgt tilfældigt af en computer</p>
Alvorlige bivirkning	En bivirkning som er livstruende, kræver indlæggelse eller forårsager vedvarende problemer
Bivirkninger	Uønskede helbredsproblemer, som opstår efter, at man har taget et lægemiddel
Spirometer	Et apparat, som måler forceret vitalkapacitet – lungefunktionen
Uklassificerbar interstitiel lungesygdom (uILS)	Når lægerne ikke er sikre på, hvilken form for interstitiel lungesygdom en person har

Forsøg med pirfenidon hos patienter med uklassificerbar interstitiel lungesygdom



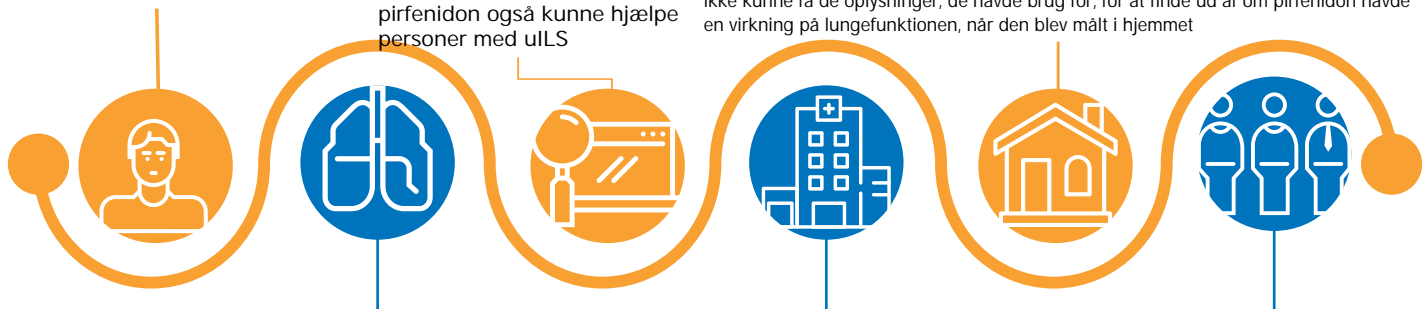
Nedenstående er et sammendrag af resultaterne af et klinisk forsøg udarbejdet i september 2019 til offentligheden og de personer, som har deltaget i forsøget. Enkeltstående forsøg kan ikke fortælle os noget om de risici og fordele, der er ved et lægemiddel. Det kræver et stort antal personer i mange forsøg at opnå al den viden, vi ønsker. Resultaterne af dette forsøg kan adskille sig fra andre forsøg med samme lægemiddel. Det betyder, at du ikke bør træffe beslutninger baseret på dette enkeltstående sammendrag – tal altid med lægen, før du træffer en beslutning om din behandling.

Sammendrag af forsøget

Forsøget blev udført for at finde ud af, om pirfenidon kan hjælpe personer med uklassificerbar interstitiel lungesygdom (uILS) ved at sammenligne virkningen af pirfenidon med placebo

Pirfenidon hjælper personer med en form for ILS kaldet for idiopatisk lungefibrose (ILF). ILF og nogle former for uILS ligner hinanden på mange måder. Forskerne ønskede at få mere viden om, hvorvidt pirfenidon også kunne hjælpe personer med uILS

Forsøget undersøgte desuden en ny måde at måle lungefunktionen på ved at bede deltagerne om at måle deres egen lungefunktion i hjemmet hver dag. De apparater, som deltagerne fik med hjem for at måle deres lungefunktion, blev dog indstillet, så de fungerede bedst, hvis der blev foretaget tre målinger hver dag. I dette forsøg målte deltagerne deres lungefunktion en gang om dagen, så spirometret kunne ikke advare dem, hvis de havde gjort noget forkert. Det betød, at spirometrene målte nogle lungefunktionsværdier, som ikke var mulige, og at forskerne ikke kunne få de oplysninger, de havde brug for, for at finde ud af om pirfenidon havde en virkning på lungefunktionen, når den blev målt i hjemmet



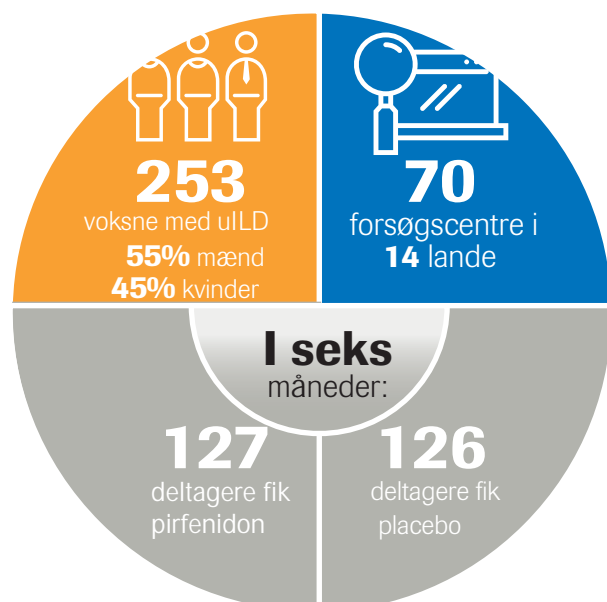
Interstitielle lungesygdomme (ILS) er sygdomme, hvor lungerne danner arvæv og vejrtrækningen bliver besværet. uILS er, når lægerne ikke med sikkerhed kan fastlægge, hvilken form for ILS en person har

Deltagerne fik foretaget en test af deres lungefunktion på hospitalet hver måned under forsøget – disse test viste, at lungefunktionen hos deltagerne, som fik placebo, forværredes over 6 måneder sammenlignet med deltagerne, som fik pirfenidon

Mindre end 1 % af deltagerne (1 ud af 127 deltagerne), der fik pirfenidon, oplevede alvorlige bivirkninger. Mindre end 1 % af deltagerne (1 ud af 124 deltagerne), der fik placebo, oplevede alvorlige bivirkninger

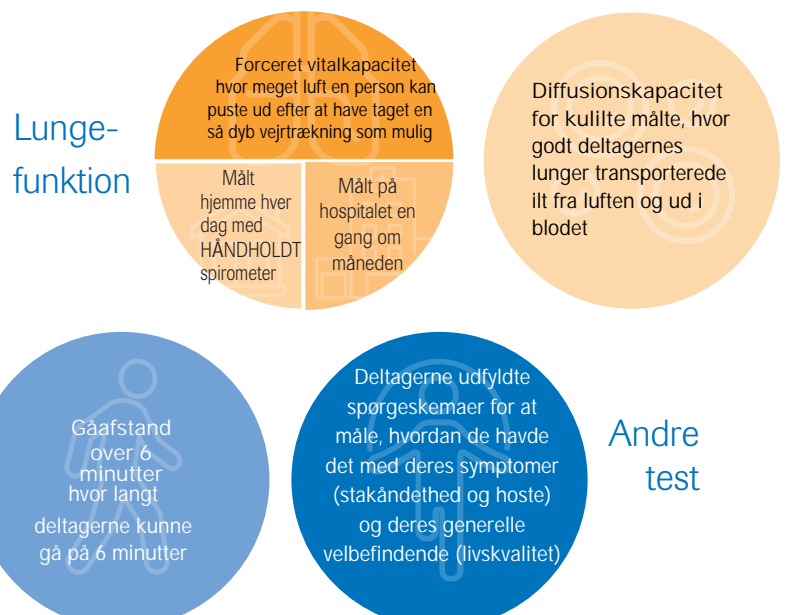
! Detaljerede oplysninger om forsøget er tilgængelige på <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03099187>

Hvem har deltaget i forsøget?



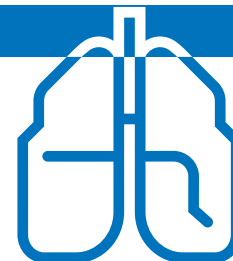
Hvilke tests blev der foretaget i forsøget?

Forskere ønskede at vide, hvor meget resultaterne af de følgende tests ændrede sig fra starten af forsøget og efter 6 måneder



Hvilke primære resultater er forsøget nået frem til?

De apparater, som deltagerne fik med hjem for at måle deres lungefunktion, blev indstillet, så de fungerede bedst, hvis der blev foretaget tre målinger hver dag. I dette forsøg målte deltagerne deres lungefunktion en gang om dagen, så spirometret kunne ikke advare dem, hvis de havde gjort noget forkert. Det betød, at spirometrene accepterede nogle lungefunktionsværdier, som ikke var mulige, og at forskerne ikke kunne få de oplysninger, de havde brug for, for at finde ud af om pirfenidon havde en virkning på lungefunktionen, når den blev målt i hjemmet. Målingerne, der blev foretaget på hospitalet, fungerede efter hensigten:

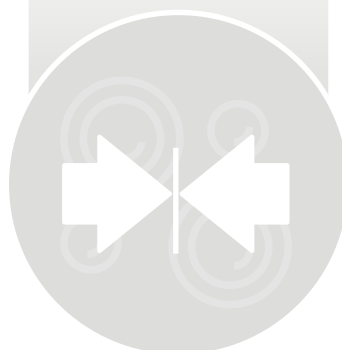


Forceret vital kapacitet blev forværret hos deltagere, der tog placebo, sammenlignet med deltagere, der tog pirfenidon



pirfenidon placebo
-18mL -113mL

Diffusionskapacitet for kulilte. Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt



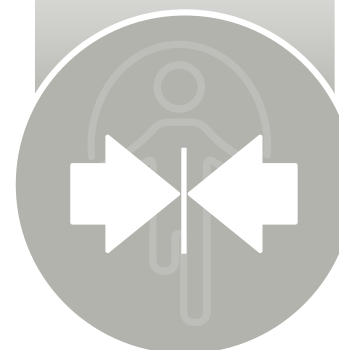
pirfenidon placebo
-1% -3%

Gåafstanden over 6 minutter blev mindre i gruppen, der tog placebo, sammenlignet med deltagere, der tog pirfenidon



pirfenidon placebo
-2m -27m

Stakåndethed, hoste og livskvalitet. Forskellene mellem de to grupper var for små til at kunne afgøre, om pirfenidon havde en effekt



Hvor kan jeg finde flere oplysninger?

Få flere oplysninger om dette forsøg på nedenstående hjemmesider:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03099187>
<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?q=2016-002744-17>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable-64703.html>

Hvis du ønsker at få mere at vide om resultaterne af forsøget, er den fulde titel på den videnskabelige undersøgelse: "Pirfenidon hos patienter med uklassificeret progressiv fibroserende interstitiel lungesygdom: et dobbeltblindt, randomiseret, placebokontrolleret fase 2-forsøg." Forfatterne af den videnskabelige undersøgelse er: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer et. al. Undersøgelsen er publiceret i "Lancet Respiratory Medicine".

Hvis du har yderligere spørgsmål efter at have læst dette sammendrag:

Gå ind på ForPatients platform og udfyld kontaktformularen: <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable-64703.html>

Eller kontakt en repræsentant fra dit lokale Roche kontor

Hvis du deltog i forsøget og har spørgsmål til resultaterne:

Tal med forsøgslægen eller personalet på forsøgshospitalet eller -klinikken

Hvis du har spørgsmål om din egen behandling: Tal med lægen, som står for din behandling

Planlægges der andre forsøg?

Der planlægges på tidspunktet for udarbejdelsen af dette sammendrag ingen yderligere forsøg for at undersøge pirfenidone i forbindelse med uILS

Forsøget startede i maj 2017 og vil blive afsluttet i januar 2020. Forsøget består af to dele. Forsøgets første del undersøgte, hvor godt forsøgslægemidlet virkede, samt hvor sikkert det var. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunkt for udarbejdelsen af dette sammendrag.

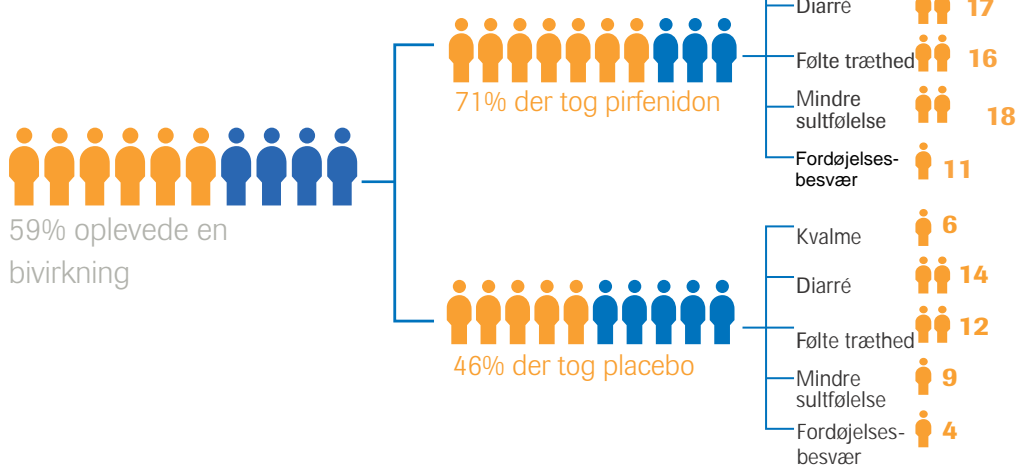
Sammendraget omfatter resultater frem til november 2018. Sammendraget præsenterer alle resultaterne fra forsøgets første del. Forsøgets anden del er igangværende på tidspunkt for udarbejdelsen af dette sammendrag.

Hvem stod bag og betalte for forsøget?

Dette forsøg er udarbejdet og betalt af F. Hoffmann-La Roche Ltd., som har hovedsæde i Basel, Switzerland. Forsøget blev oprindeligt udviklet som en del af et NIHR-sponsoreret Clinician Scientist Fellowship tildelt Professor Toby M. Maher (NIHR Ref: CS-2013-13-017) og er efterfølgende blevet tilpasset efter drøftelser med F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Var der nogle bivirkninger?

Bivirkninger - eller 'uønskede hændelser' - er uønskede, medicinske tilstande (som f.eks. hovedpine), der opstår under et forsøg. De bivirkninger, der er beskrevet i dette sammendrag, er bivirkninger, som forsøgslægerne mente var forbundet med forsøgsbehandlingerne (pirfenidon eller placebo)



Der er indberettet to alvorlige bivirkninger i dette forsøg. En bivirkning opstod hos en deltager, som tog pirfenidon (mindre sultfølelse), og den anden opstod hos en deltager, som tog placebo (leverproblemer). Nogle deltagere valgte at stoppe med at tage lægemidlet under forsøget.

I pirfenidon-gruppen stoppede 25 ud af 127 deltagere (20 %) med at tage lægemidlet. Hos 16 ud af 127 deltagere (13 %) skyldtes dette en bivirkning forbundet med lægemidlet.

I placebo-gruppen stoppede 10 ud af 124 deltagere (8 %) med at tage lægemidlet. Hos 1 ud af 124 deltagere (mindre end 1 %) skyldtes dette en bivirkning forbundet med lægemidlet