



## **Badanie oceniające działanie i bezpieczeństwo stosowania pirfenidonu u osób chorujących na nieklasyfikowalną śródmiąższową chorobę płuc**

Pełna nazwa badania: patrz koniec niniejszego podsumowania.

### **Spis treści podsumowania:**

1. Informacje ogólne o badaniu
2. Kto uczestniczył w badaniu?
3. Co działo się w trakcie badania?
4. Jakie są wyniki badania?
5. Jakie były działania uboczne?
6. W jaki sposób to badanie przyczyniło się do poszerzenia wiedzy?
7. Czy planuje się inne badania?
8. Gdzie mogę znaleźć dodatkowe informacje?
9. Słownik
10. Podsumowanie infografik

### **Informacje o niniejszym podsumowaniu**

Niniejszy dokument stanowi podsumowanie wyników badania klinicznego (zwanego w tym dokumencie „badaniem”) i został sporządzony dla:

- Opinii publicznej oraz
- Uczestników badania.

Niniejsze podsumowanie jest oparte na informacjach, które były dostępne w czasie jego sporządzania (tj. wrzesień 2019 r.). W chwili obecnej dostępne mogą być dalsze dane.

Badanie rozpoczęto w maju 2017 roku, a jego zakończenie przewiduje się na styczeń 2020 roku. Składa się ono z dwóch części. W części pierwszej oceniano działanie badanego leku i bezpieczeństwo jego stosowania. Druga część badania będzie się skupiać na ocenie bezpieczeństwa tego leku.

W niniejszym podsumowaniu przedstawiono wyniki uzyskane do listopada 2018 roku. Przedstawiono w nim pełne wyniki z pierwszej części badania. W czasie sporządzania niniejszego podsumowania druga część badania nadal trwała.

Nie jesteśmy w stanie dowiedzieć się wszystkiego o ryzyku i korzyściach stosowania danego leku z wyłącznie jednego badania. Potrzeba wielu pacjentów w wielu badaniach, aby uzyskać wszystkie potrzebne informacje. Wyniki omawianego badania mogą różnić się od wyników uzyskanych w innych badaniach oceniających ten sam lek.

Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji w oparciu o to jedno podsumowanie; należy zawsze porozmawiać z lekarzem przed podjęciem jakiegokolwiek decyzji dotyczącej leczenia.

## Osobom uczestniczącym w niniejszym badaniu należą się podziękowania

Osoby biorące udział w omawianym badaniu pomagają badaczom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące nieklasyfikowalnej choroby śródmiąższowej płuc i pirfenidonu.

### Kluczowe informacje o badaniu

- Niniejsze badanie przeprowadzono w celu porównania pirfenidonu („lek badany”) z placebo u osób chorujących na nieklasyfikowalną śródmiąższową chorobę płuc
  - W badaniu tym uczestnicy stosowali:
    - 801 mg pirfenidonu przyjmowanego doustnie trzy razy na dobę lub
    - Placebo
  - Przydział do danego leczenia był losowy
  - Składa się ono z dwóch części. W części pierwszej oceniano działanie badanego leku i bezpieczeństwo jego stosowania. Druga część badania będzie się skupiać na ocenie bezpieczeństwa tego leku.
    - W niniejszym podsumowaniu przedstawiono pełne wyniki uzyskane w pierwszej części badania. W czasie jego sporządzania druga część badania nadal trwała.
  - W omawianym badaniu wzięły udział 253 osoby w 14 krajach
  - W badaniu tym oceniano nową metodę pomiaru czynności płuc polegającą na samodzielnym, codziennym pomiarach czynności płuc przez pacjentów w domu
  - W czasie trwania badania wykonywano również testy czynnościowe płuc w czasie wizyt w szpitalu
- Urządzenia służące do pomiaru czynności płuc, które pacjenci zabrali do domu, ustawiono tak, aby najlepsze ich działanie uzyskać przy wykonywaniu trzech pomiarów dziennie. W omawianym badaniu uczestnicy mierzyli czynność płuc raz dziennie, a więc nie otrzymywali ostrzeżeń wysyłanych przez spirometr, jeśli popełnili błąd
- Oznaczało to, że spirometry zapisywały czasem nierealne wartości czynności płuc, a badacze nie mogli uzyskać danych potrzebnych do oceny, czy pirfenidon wywierał wpływ na czynność płuc mierzoną w warunkach domowych
- Wyniki testów czynnościowych płuc wykonywane w szpitalu dały oczekiwane wyniki i pokazały, że czynność płuc osób, które stosowały placebo, pogorszyła się w czasie 6 miesięcy w porównaniu do osób stosujących pirfenidon
- Poważne działania uboczne zgłaszało mniej niż 1% osób (1 na 127 osób) stosujących pirfenidon. Poważne działania uboczne zgłaszało mniej niż 1% osób (1 na 124 osób) stosujących placebo.

### 1. Informacje ogólne o badaniu

#### Dlaczego przeprowadzono niniejsze badanie?

Śródmiąższowe choroby płuc (z ang. *interstitial lung diseases*, ILD) to grupa chorób, w których płuca bliznowaceją, a oddychanie staje się trudne. Istnieją różne rodzaje tej choroby. Nieklasyfikowalną ILD (z ang. *unclassifiable ILD*, uILD) rozpoznaje się wtedy, gdy lekarze nie są pewni jaka postać występuje u pacjenta.

Nie ma leków na uILD

Pirfenidon pomaga osobom z rodzajem ILD zwanym idiopatycznym włóknieniem płuc (z ang. *idiopathic pulmonary fibrosis*, IPF). IPF i niektóre rodzaje uILD są pod wieloma względami podobne. Badacze chcieli dowiedzieć się więcej na temat tego, czy pirfenidon może pomóc również osobom z uILD.

#### Jaki był lek badany?

W badaniu oceniano lek o nazwie „pirfenidon” (Esbriet®).

- Pirfenidon spowalnia bliznowacenie (włóknienie) płuc u osób z IPF.
- Może to oznaczać, że pirfenidon może również spowolnić bliznowacenie płuc u osób z uILD.

Pirfenidon porównano z 'placebo'.

- Wymowa: „pla-ce-bo”.

- Kapsułka placebo wyglądała tak samo jak kapsułka pirfenidonu, ale nie zawierała prawdziwego leku. Oznacza to, że z medycznego punktu widzenia nie miała ona żadnego wpływu na organizm.
- Badacze porównali pirfenidon z placebo, aby dowiedzieć się, jakie korzyści i działania uboczne można tak naprawdę przypisać pirfenidonowi.

### Co chcieli wykazać badacze?

- Niniejsze badanie przeprowadzono w celu porównania pirfenidonu z placebo, aby sprawdzić, w jakim stopniu lek ten jest skuteczny (patrz punkt 4 „Jakie są wyniki badania?”).
- W badaniu tym badacze chcieli się też dowiedzieć jak bezpieczne jest stosowanie tego leku poprzez sprawdzenie ile osób doświadczyło działań ubocznych w czasie stosowania pirfenidonu lub placebo (patrz punkt 5 „Jakie były działania uboczne?”).

### **Głównym pytaniem, na które chcieli odpowiedzieć badacze, było:**

1. Czy pirfenidon wywiera wpływ na pogorszenie czynności płuc w czasie 6 miesięcy na podstawie codziennych pomiarów przeprowadzanych w domu?

### **Innymi pytaniami, na które chcieli odpowiedzieć badacze, były:**

1. Czy pirfenidon wywiera wpływ na pogorszenie czynności płuc w czasie 6 miesięcy na podstawie pomiarów przeprowadzanych w czasie wizyt w szpitalu?
2. Czy pirfenidon wywiera wpływ na dystans, jaki osoby uczestniczące w badaniu były w stanie pokonać w ciągu 6 minut?
3. Czy według osób uczestniczących w badaniu pirfenidon ograniczył objawy ich choroby?

### Jakiego rodzaju było omawiane badanie?

Było to badanie „fazy II”. Oznacza to, że stosowanie pirfenidonu u ludzi oceniano już wcześniej, ale było to pierwsze badanie u osób z uILD.

Badanie to było „randomizowane”. Oznacza to, że losowo – jak rzutem monetą – wybrano, którzy pacjenci będą otrzymywać pirfenidon. W omawianym badaniu pacjenci z uILD stosowali albo pirfenidon, albo placebo.

Badanie to było prowadzone metodą „podwójnie ślepej próby”. Oznacza to, że ani osoby uczestniczące w badaniu, ani lekarze nadzorujący badanie nie wiedzieli, którzy pacjenci stosowali pirfenidon.

„Zaślepienie” badania ma na celu zapewnienie, że obserwowane działanie leku nie wynika z oczekiwań, jakie miałyby zaangażowane w badanie osoby, gdyby wiedziały, jaki lek stosują.

### Kiedy i gdzie przeprowadzono omawiane badanie?

Badanie rozpoczęto w maju 2017 roku, a jego zakończenie przewiduje się na styczeń 2020 roku. Składa się ono z dwóch części. W części pierwszej oceniano działanie badanego leku i bezpieczeństwo jego stosowania. Druga część badania będzie się skupiać na ocenie bezpieczeństwa tego leku.

W niniejszym podsumowaniu przedstawiono wyniki uzyskane do listopada 2018 roku. Przedstawiono w nim pełne wyniki z pierwszej części badania. W czasie sporządzania niniejszego podsumowania druga część badania nadal trwała.

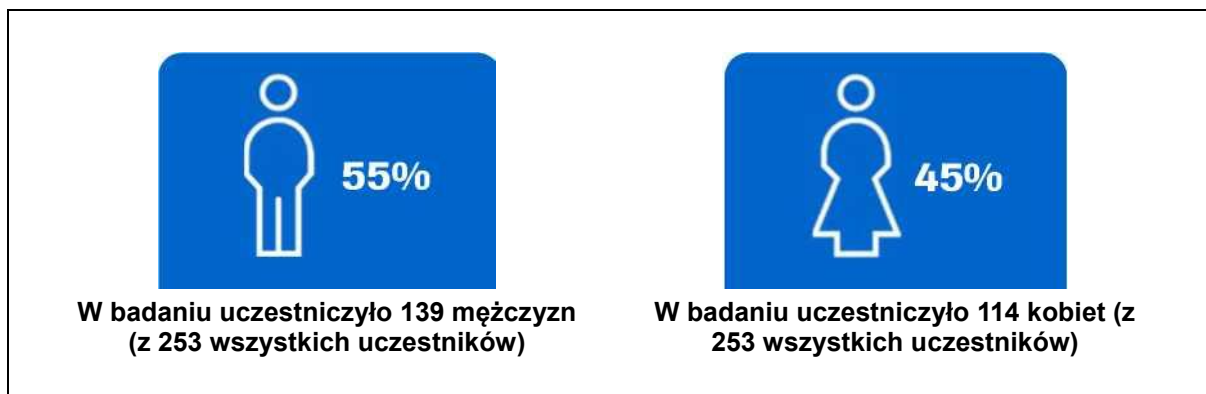
Badanie prowadzono w 70 ośrodkach badawczych w 14 krajach. Na mapie poniżej zaznaczone są kraje, w których prowadzono omawiane badanie.

- Australia
- Belgia
- Kanada
- Republika Czeska
- Dania
- Niemcy
- Grecja
- Irlandia
- Izrael
- Włochy
- Polska
- Portugalia
- Hiszpania
- Wielka Brytania



## 2. Kto uczestniczył w badaniu?

**253 dorosłych chorujących na uILD wzięło udział w badaniu.**



Do udziału w badaniu dopuszczono osoby, które spełniały następujące warunki:

- Chorowały na uILD, a ich stan się pogarszał.
- Bliznowacenie (włóknienie) stwierdzono w ponad 10% tkanki płuc.
- Czynność płuc stanowiła co najmniej 45% oczekiwanej czynności płuc osób zdrowych tej samej płci i w tym samym wieku.

Do udziału w badaniu nie dopuszczono osób, które spełniały następujące warunki:

- Miały inne, poważne problemy zdrowotne.
- Stosowały określone leki.
- Paliły tytoń lub przestały palić tytoń w przeciągu ostatnich 3 miesięcy.

## 3. Co działo się w trakcie badania?

Podczas badania uczestnikom w sposób losowy przydzielono jeden z dwóch rodzajów leczenia. Przydział ten był losowy, generowany komputerowo.

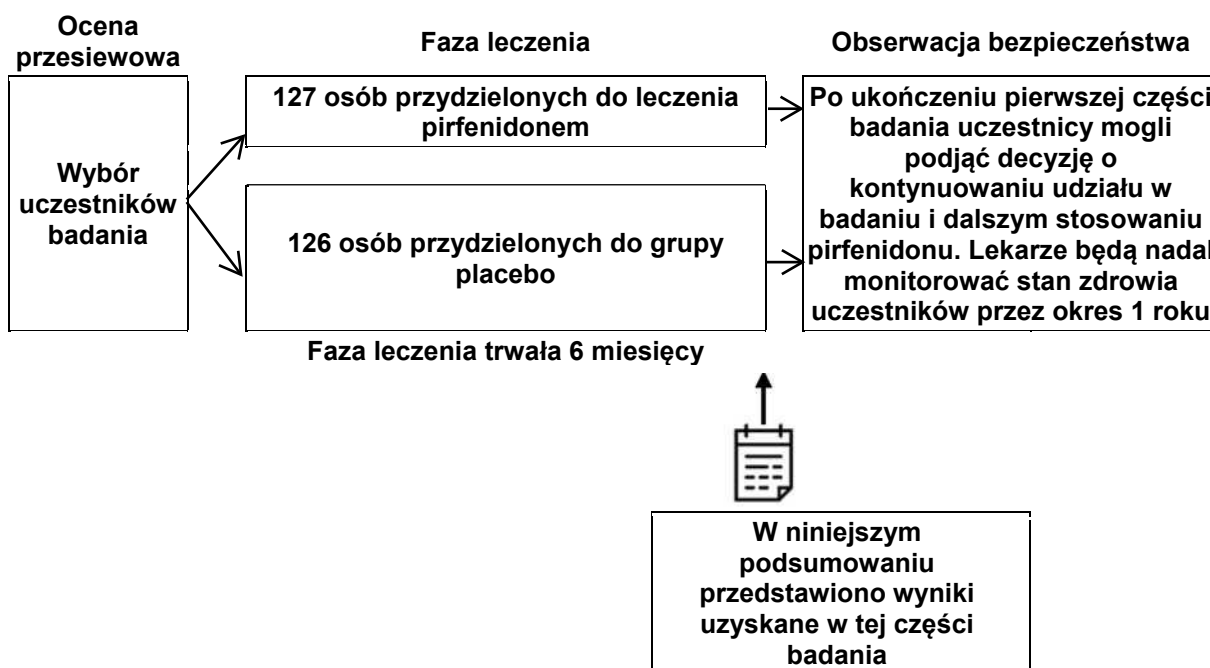
Osoby uczestniczące w badaniu stosowały przydzielone leki przez okres 6 miesięcy. Uczestnicy przychodzili do szpitala raz w miesiącu przez 6 miesięcy stosowania leku. Ten okres badania nazywa się „fazą leczenia.”

Grupy leczenia były następujące:

- **Grupa pirfenidonu** (lek badany) – 801 miligramów (801 mg), przyjmowany doustnie trzy razy na dobę.
- **Grupa placebo** – przyjmowane doustnie trzy razy na dobę.

Po 6 miesiącach uczestnicy badania dowiadywali się, czy w fazie leczenia stosowali pirfenidon czy placebo. Mogli oni podjąć decyzję o uczestnictwie w drugiej części badania. Druga część badania nazywa się „obserwacją bezpieczeństwa”. Osoby stosujące w fazie leczenia pirfenidon kontynuowały jego przyjmowanie w okresie obserwacji bezpieczeństwa, a osoby stosujące w fazie leczenia placebo zaczęły przyjmować pirfenidon. Obserwacja bezpieczeństwa nadal trwa, a więc pacjenci są nadal leczeni pirfenidonem.

W niniejszym podsumowaniu opisano pełne wyniki uzyskane w fazie leczenia. Poniżej przedstawiono więcej informacji dotyczących tego, co działo się podczas badania.



#### 4. Jakie są wyniki badania?

##### [Pytanie 1.: Czy pirfenidon wywiera wpływ na pogorszenie czynności płuc w czasie 6 miesięcy na podstawie codziennych pomiarów przeprowadzanych w domu?](#)

Uczestnicy badania otrzymali urządzenie – spirometr, który mogli zabrać do domu. Spirometr mierzy objętość powietrza wydychanego z płuc po możliwie najgłębszym wdechu, tzw. natężoną pojemność życiową. Każdy z uczestników badania wykonywał pomiary natężonej pojemności życiowej codziennie w domu.

- Urządzenia służące do pomiaru czynności płuc, które pacjenci zabrali do domu, ustawiono tak, aby najlepsze ich działanie uzyskać przy wykonywaniu trzech pomiarów dziennie. W omawianym badaniu uczestnicy mierzyli czynność płuc raz dziennie, a więc nie otrzymywali ostrzeżeń wysyłanych przez spirometr, jeśli popełnili błąd.
- Oznaczało to, że spirometry zapisywały czasem nierealne wartości czynności płuc, a badacze nie mogli uzyskać danych potrzebnych do oceny, czy pirfenidon wywierał wpływ na czynność płuc mierzoną w warunkach domowych.

**Pytanie 2.: Czy pirfenidon wywiera wpływ na pogorszenie czynności płuc w czasie 6 miesięcy na podstawie pomiarów przeprowadzanych w czasie wizyt w szpitalu?**

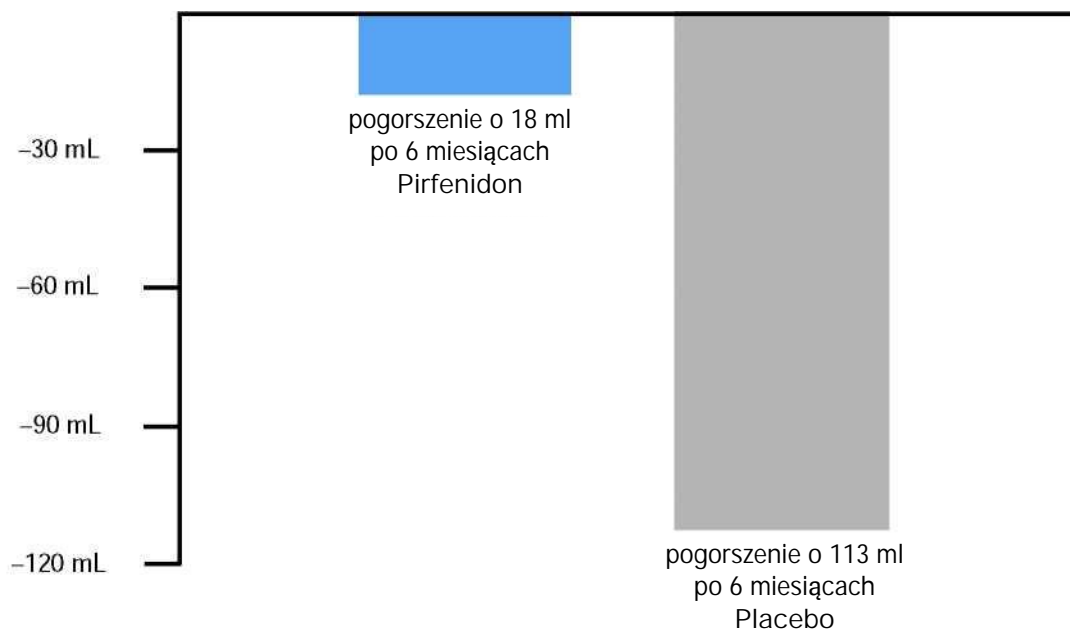
Badacze stosowali też tradycyjne metody pomiaru czynności płuc, tj. natężonej pojemności życiowej, w szpitalu. Uczestnicy przychodzili do szpitala raz w miesiącu przez 6 miesięcy w celu wykonania badań czynnościowych płuc.

Badacze chcieli ustalić, jak bardzo zmieniła się wartość natężonej pojemności życiowej od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania. Porównali też zmiany obserwowane w grupie pirfenidonu i placebo, aby sprawdzić, czy występują między nimi różnice.

- Czynność płuc pogorszyła się w obu grupach.
- Pogorszenie czynności płuc było większe w grupie osób stosujących placebo w porównaniu z osobami stosującymi pirfenidon.

**Średnia zmiana wartości natężonej pojemności życiowej od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania**

**Pogorszenie  
czynności  
płuc**



Natężona pojemność życiowa nie jest jedynym parametrem służącym do oceny czynności płuc. Badacze zmierzili też, jak płuca uczestników badania transportowały tlen do krwi, tzw. zdolność dyfuzji gazów w płucach. Wyniki przedstawiono w postaci wartości procentowej oczekiwanej zdolności dyfuzji gazów w płucach u zdrowych osób tej samej płci i w tym samym wieku. Na przykład, jeśli płuca osoby z uILD transportowały tlen w połowie tak dobrze, jak u osób bez uILD, to wartość zdolności dyfuzji gazów wynosiłaby 50%.

Badacze chcieli ustalić, jak bardzo zmieniła się zdolność dyfuzji gazów w płucach od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania. Porównali też zmiany obserwowane w grupie pirfenidonu i placebo, aby sprawdzić, czy występują między nimi różnice.

- Zdolność dyfuzji gazów w płucach pogorszyła się w obu grupach.
- Różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić, czy pirfenidon wywiera wpływ na zdolności dyfuzji gazów w płucach.

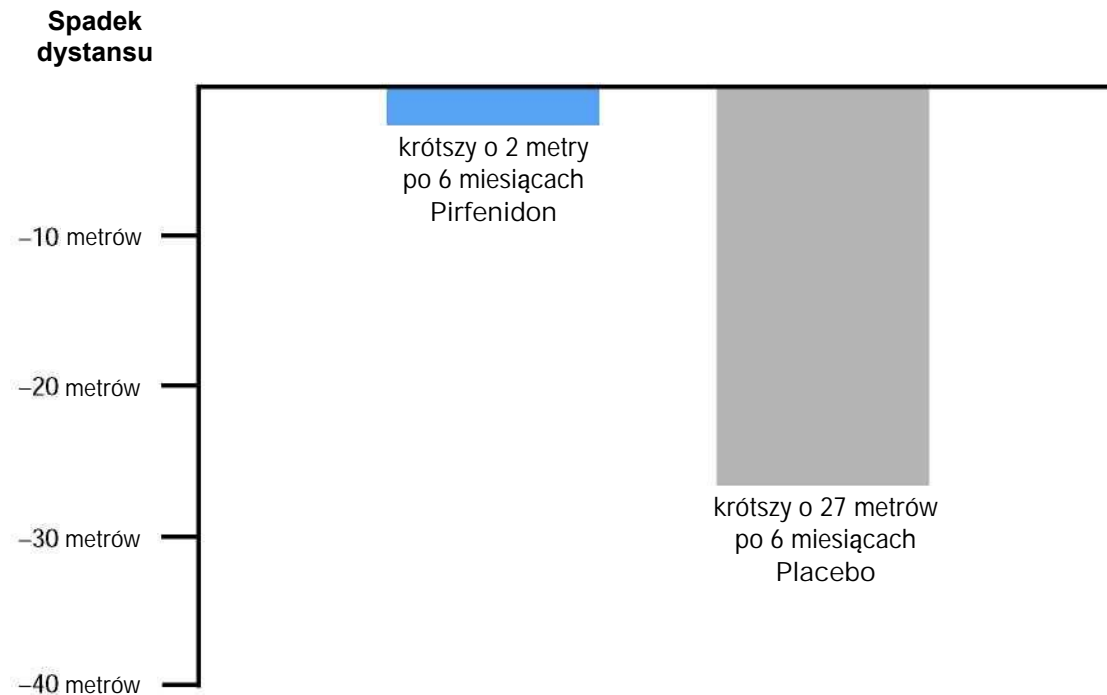
### Średnia zmiana zdolności dyfuzji gazów w płucach od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania

Pogorszenie  
czynności  
płuc



Pytanie 3.: Czy pirfenidon wywiera wpływ na dystans, jaki osoby uczestniczące w badaniu są w stanie pokonać w ciągu 6 minut?

**Średnia zmiana dystansu w teście 6-minutowego marszu od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania**



Badacze sprawdzili też, jaki dystans są w stanie przejść uczestnicy badania w czasie 6 minut, tj. dystans w teście 6-minutowego marszu. Dystans ten sprawdzano, ponieważ osoby chorujące na ILD mogą doświadczać duszności i nie być w stanie przejść takiego dystansu, jak dawniej.

Badacze chcieli ustalić, jak bardzo zmienił się dystans w teście 6-minutowego marszu od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania. Porównali też zmiany obserwowane w grupie pirfenidonu i placebo, aby sprawdzić, czy występują między nimi różnice.

- Dystans w teście 6-minutowego marszu skracał się w obu grupach.
- Skrócenie dystansu w teście 6-minutowego marszu było większe w grupie osób stosujących placebo w porównaniu z osobami stosującymi pirfenidon.



#### Pytanie 4.: Czy według osób z uILD pirfenidon ograniczył objawy ich choroby?

Nie da się całkowicie zniwelować objawów uILD, ale niektóre terapie mogą ograniczyć ich wpływ na życie codzienne. Badacze prosili osoby uczestniczące w badaniu o wypełnienie kilku ankiet, w których pytano o objawy duszności i kaszel. Badacze pytali także o ogólne samopoczucie – jakość życia. Pytania o samopoczucie zadawano, ponieważ pacjenci z ILD często czują się przygnębieni lub ograniczani przez swoją chorobę.

- Odpowiedzi na pytania ankietowe były zbliżone w grupie stosującej pirfenidon i w grupie placebo.
- Różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić czy pirfenidon wywiera wpływ na odczuwanie duszności, kaszel lub jakość życia.

#### 5. Jakie były działania uboczne?

Działania uboczne, zwane również działaniami niepożądanymi, to niechciane problemy medyczne (np. bóle głowy), jakie mogą pojawić się w czasie badania.

- Są one opisane w niniejszym podsumowaniu, ponieważ lekarz prowadzący badanie uważa, że wiązały się one z zastosowanym w badaniu leczeniem (pirfenidonem lub placebo). Lekarze prowadzący badanie mogli uznać, że niektóre objawy były związane z placebo, ponieważ nie wiedzieli, czy pacjenci stosowali placebo czy pirfenidon.
- Nie wszystkie działania wystąpiły u wszystkich uczestników badania.

Ciężkie i częste działania niepożądane wymieniono w kolejnych punktach.

#### Ciężkie działania niepożądane

Działanie niepożądane uznaje się za „ciężkie”, gdy zagraża życiu, wymaga leczenia w szpitalu lub powoduje trwałe problemy.

Podczas trwania omawianego badania co najmniej jedno ciężkie działanie niepożądane obserwowano u 1 na 100 osób (mniej niż 1%). Ciężkie działania niepożądane zgłaszało mniej niż 1% osób stosujących pirfenidon. Ciężkie działania niepożądane zgłaszało mniej niż 1% osób stosujących placebo.

W trakcie tego badania zgłoszono dwa ciężkie działania niepożądane. Jedno z nich wystąpiło u pacjenta stosującego pirfenidon, a drugie u pacjenta stosującego placebo.

	<b>Osoby stosujące pirfenidon</b> (łącznie 127 osób)	<b>Osoby stosujące placebo</b> (łącznie 124 osoby)
<b>Ciężkie działania niepożądane zgłaszane w czasie badania</b>	Mniejsze uczucie głodu Mniej niż 1% (1 na 127 osób)	Zaburzenia czynności wątroby Mniej niż 1% (1 na 124 osoby)

W badaniu nie odnotowano przypadków zgonu, które mogłyby być związane z jednym z badanych leków.

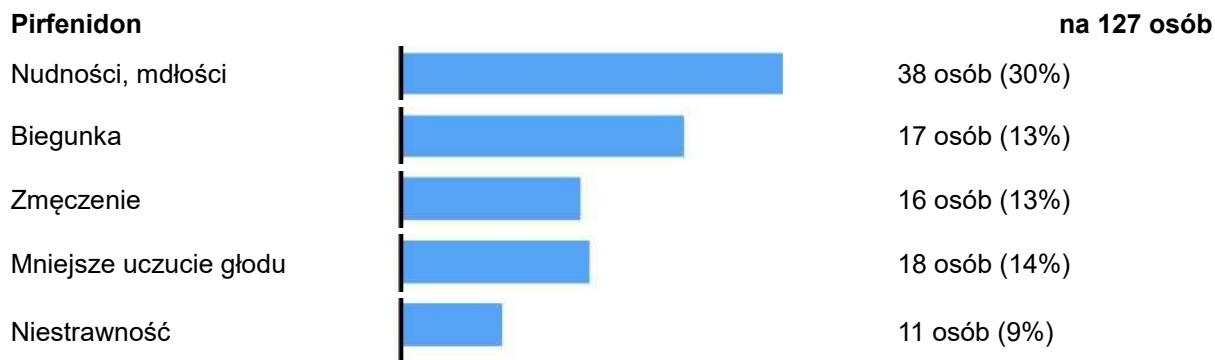
W czasie trwania badania niektórzy pacjenci zdecydowali o zaprzestaniu stosowania leku:

- W grupie pirfenidonu 25 z 127 osób (20%) przerwało leczenie pirfenidonem; u 16 z 127 osób (13%) decyzja ta była spowodowana wystąpieniem działania ubocznego związanego z lekiem.
- W grupie placebo 10 z 124 osób (8%) przerwało stosowanie placebo; u 1 z 124 osób (mniej niż 1%) decyzja ta była spowodowana wystąpieniem działania ubocznego związanego z lekiem.

#### Najczęstsze działania uboczne

W czasie badania działania uboczne wystąpiły u prawie 60 na każde 100 osób uczestniczących w badaniu (59%). Działania uboczne zgłaszano u około 71% osób stosujących pirfenidon oraz u 46% osób stosujących placebo.

Najczęstsze działania uboczne przedstawiono na poniższym wykresie: pięć najczęstszych działań niepożądanych występujących w całej grupie badanej.



### Inne działania niepożądane

Dane dotyczące innych działań ubocznych, niewymienionych w powyższych punktach, można znaleźć na stronach internetowych podanych na końcu tego podsumowania – patrz punkt 8.

## 6. W jaki sposób to badanie przyczyniło się do poszerzenia wiedzy?

Dane przedstawione w niniejszym dokumencie pochodzą z jednego badania, w którym uczestniczyło 253 pacjentów z uILD. Wyniki te pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat tej choroby i na temat pirfenidonu.

W badaniu tym oceniano nową metodę pomiaru czynności płuc polegającą na samodzielnych, codziennych pomiarach czynności płuc przez pacjentów w domu. Jednak urządzenia służące do pomiaru czynności płuc, które pacjenci zabrali do domu, ustawiono tak, aby najlepsze ich działanie uzyskać przy wykonywaniu trzech pomiarów dziennie. W omawianym badaniu uczestnicy mierzyli czynność płuc raz dziennie, a więc nie otrzymywali ostrzeżeń wysyłanych przez spirometr, jeśli popełnili błąd. Oznaczało to, że spirometry zapisywały czasem nierealne wartości czynności płuc, a badacze nie mogli uzyskać danych potrzebnych do oceny, czy pirfenidon wywierał wpływ na czynność płuc mierzoną w warunkach domowych. Badacze muszą teraz określić, w jaki sposób ustawić urządzenia tak, aby wyeliminować ten błąd w przyszłych badaniach klinicznych.

Uczestnicy badania zgłaszali się też na wizyty do szpitala w celu wykonania badań czynnościowych płuc i określenia dystansu w teście 6-minutowego marszu. Pomimo pogorszenia natężonej pojemności życiowej i dystansu w teście 6-minutowego marszu zarówno w grupie leczonej pirfenidonem, jak i w grupie placebo, większe pogorszenie obserwowano u pacjentów stosujących placebo w porównaniu do osób leczonych pirfenidonem.

Badacze zmierzili też, jak płuca uczestników badania transportowały tlen do krwi, tzw. zdolność dyfuzji gazów w płucach. Zdolność dyfuzji gazów w płucach pogorszyła się w obu grupach. Różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić, czy pirfenidon wywiera wpływ na zdolności dyfuzji gazów w płucach.

Uczestnicy badania wypełnili ankiety dotyczące odczuwanej duszności, kaszlu i ogólnego samopoczucia – jakości życia. Odpowiedzi na pytania ankietowe były zbliżone w grupie stosującej pirfenidon i w grupie placebo. Różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić czy pirfenidon wywiera wpływ na odczuwanie duszności, kaszel lub jakość życia.

Badacze przyjrzeni się również problemom medycznym zgłaszanym przez uczestników w trakcie badania. Ciężkie działania niepożądane zgłaszało mniej niż 1% osób stosujących pirfenidon. Działania uboczne zgłaszało około 71% osób stosujących pirfenidon oraz 46% osób stosujących placebo.

Nie jesteśmy w stanie dowiedzieć się wszystkiego o ryzyku i korzyściach stosowania danego leku z wyłącznie jednego badania. Potrzeba wielu pacjentów w wielu badaniach, aby uzyskać wszystkie potrzebne informacje. Wyniki omawianego badania mogą różnić się od wyników uzyskanych w innych badaniach oceniających ten sam lek.

- Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji w oparciu o to jedno podsumowanie; należy zawsze porozmawiać z lekarzem przed podjęciem jakiegokolwiek decyzji dotyczącej leczenia.

## 7. Czy planuje się inne badania?

W chwili sporządzania niniejszego streszczenia nie planuje się dalszych badań oceniających pirfenidon u osób z uILD.

Badanie rozpoczęto w maju 2017 roku, a jego zakończenie przewiduje się na styczeń 2020 roku. Składa się ono z dwóch części. W części pierwszej oceniano działanie badanego leku i bezpieczeństwo jego stosowania. Druga część badania będzie się skupiać na ocenie bezpieczeństwa tego leku.

W niniejszym podsumowaniu przedstawiono wyniki uzyskane do listopada 2018 roku. Przedstawiono w nim pełne wyniki z pierwszej części badania. W czasie sporządzania niniejszego podsumowania druga część badania nadal trwała.

## 8. Gdzie mogę znaleźć dodatkowe informacje?

Dodatkowe informacje o omawianym badaniu można znaleźć na wymienionych poniżej stronach internetowych:

- <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>

Jeśli chciałby/chciałaby Pan/Pani dowiedzieć się więcej o wynikach uzyskanych w omawianym badaniu, pełny tytuł pracy naukowej na ten temat to: „*Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial*” („Prifenidon u pacjentów z nieklasyfikowalną, postępującą włókniejącą chorobą śródmiąższową płuc: randomizowane badanie fazy II prowadzone metodą podwójnie ślepej próby z kontrolą placebo”). Autorami tej pracy są: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer i inni. Artykuł został opublikowany w czasopiśmie *Lancet Respiratory Medicine*.

### [Z kim mogę się kontaktować, jeśli będę miał/a pytania dotyczące tego badania?](https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html)

Jeśli po przeczytaniu niniejszego podsumowania będzie Pan/Pani miał/a jakiegokolwiek pytania:

- Proszę wejść na platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy: <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>
- Proszę skontaktować się z miejscowym przedstawicielem firmy Roche.

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

- Proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie bądź personelem szpitala lub ośrodka w którym przeprowadzono badanie.

W przypadku jakichkolwiek pytań na temat Pana/Pani leczenia:

- Proszę zwrócić się do lekarza odpowiadającego za Pana/Pani leczenie.

### Kto zorganizował i zapłacił za to badanie?

Badanie zostało zorganizowane i sponsorowane przez firmę F Hoffmann-La Roche Ltd z siedzibą w Bazylei w Szwajcarii. Początkowo badanie planowano w ramach ufundowanego przez NIHR stypendium dla naukowców klinicznych, które otrzymał Profesor Toby M. Maher (NIHR Ref: CS-2013-13-017), a następnie zostało ono zaadaptowane po rozmowach z F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

### Pełny tytuł badania i inne informacje konieczne do jego identyfikacji

Pełny tytuł badania: „Wieloośrodkowe, międzynarodowe, randomizowane badanie fazy II prowadzone metodą podwójnie ślepej próby w dwóch grupach z kontrolą placebo, oceniające pirfenidon u pacjentów z nieklasyfikowalną postępującą włóknieżącąILD”.

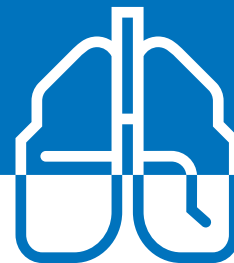
- Numer protokołu badania: MA39189.
- Numer identyfikacyjny badania w ClinicalTrials.gov: NCT03099187.
- Numer EudraCT omawianego badania: 2016-002744-17.

## 9. Słownik

dystans w teście 6-minutowego marszu	Dystans, jaki są w stanie pokonać pacjenci w ciągu 6 minut marszu po płaskiej powierzchni
Zdolności dyfuzji gazów w płucach	Stopień w jakim płuca transportują tlen z powietrza do krwi
Badanie kliniczne	Badanie kliniczne lub próba kliniczna to rodzaj badania, w którym badacze podają lek grupie pacjentów. Badacze regularnie kontaktują się z pacjentami stosującymi ten lek i przeprowadzają badania. Celem badań klinicznych jest stwierdzenie, czy nowy lek jest bezpieczny, czy wywołuje działania uboczne, czy działa lepiej niż inne obecnie stosowane leki oraz czy poprawia stan pacjentów.
Podwójne zaślepienie	W niektórych badaniach klinicznych badacze chcą porównać więcej niż jeden rodzaj leczenia. Na przykład w wielu badaniach klinicznych stosuje się: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Badany lek</li> <li>• Placebo</li> </ul> „Podwójne zaślepienie” badania oznacza, że ani osoby uczestniczące w badaniu, ani lekarze nadzorujący badanie nie wiedzą, które osoby stosują badany lek, a które placebo.
Zmęczenie	Uczucie zmęczenia
Włóknienie	Bliznowacenie
Natężona pojemność życiowa	Objętość powietrza wydychanego z płuc po możliwie najgłębszym wdechu.
Idiopatyczne włóknienie płuc (IPF)	Choroba, w której płuca bliznowaceją, a oddychanie staje się trudne. Idiopatyczne włóknienie płuc to rodzaj choroby śródmiąższowej płuc.
Śródmiąższowe choroby płuc (ILD)	Grupa chorób, w których płuca bliznowaceją, a oddychanie staje się trudne.
Czynność płuc	Sposób w jaki funkcjonują płuca.
Nudności	Mdłości

Pirfenidon (Esbriet®)	Lek stosowany w leczeniu pacjentów z idiopatycznym włóknieniem płuc. Pirfenidon spowalnia bliznowacenie płuc u osób z idiopatycznym włóknieniem płuc.
Badania fazy II	Badania fazy II odbywają się po ocenie działania leku u ludzi bez problemów zdrowotnych. Celem badań fazy II jest wykazanie, że dany lek jest korzystny dla osób, które mają problemy ze zdrowiem.
Placebo	Forma terapii stosowana w badaniach klinicznych, w której nie stosuje się żadnych prawdziwych leków. Uczestnikom badania klinicznego podaje się: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Prawdziwy lek badany, lub</li> <li>• Placebo, które wygląda tak samo jak badany lek</li> </ul> Placebo pomaga badaczom wykazać, jakie korzyści i działania uboczne powoduje badany lek.
Jakość życia	Ogólne samopoczucie
Randomizacja	W niektórych badaniach klinicznych badacze chcą porównać więcej niż jeden rodzaj leczenia. Na przykład w wielu badaniach klinicznych stosuje się: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Badany lek</li> <li>• Placebo</li> </ul> Randomizacja oznacza, że leczenie zostało przydzielone danemu pacjentowi w sposób losowy, a wybór ten był generowany komputerowo.
Ciężkie działanie niepożądane	Działanie niepożądane, które zagraża życiu, wymaga leczenia w szpitalu lub powoduje trwałe problemy.
Działania uboczne	Niepożądane problemy medyczne, które mogą wystąpić po podaniu leku pacjentom.
Spirometr	Urządzenie służące do pomiaru natężonej pojemności życiowej – czynności płuc.
Nieklasyfikowalna choroba śródmiąższowa płuc (uILD)	Gdy lekarze nie są pewni, jaki rodzaj choroby śródmiąższowej płuc występuje u pacjenta.

# Badanie oceniające pirfenidon u pacjentów z nieklasyfikowalną chorobą śródmiąższową płuc



Niniejszy dokument stanowi podsumowanie wyników badania klinicznego. Został on sporządzony we wrześniu 2019 roku dla opinii publicznej i osób, które brały udział w badaniu. Nie jesteśmy w stanie dowiedzieć się wszystkiego o ryzyku i korzyściach stosowania danego leku z wyłącznie jednego badania. Potrzeba wielu pacjentów w wielu badaniach, aby uzyskać wszystkie potrzebne informacje. Wyniki omawianego badania mogą różnić się od wyników uzyskanych w innych badaniach oceniających ten sam lek. Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji w oparciu o to jedno podsumowanie; należy zawsze porozmawiać z lekarzem przed podjęciem jakiegokolwiek decyzji dotyczącej leczenia.

## Streszczenie badania

Niniejsze badanie przeprowadzono w celu oceny, czy pirfenidon pomaga pacjentom z nieklasyfikowalną śródmiąższową chorobą płuc (uILD) poprzez porównanie jego działania z placebo.

Pirfenidon pomaga osobom z rodzajemILD zwanym idiopatycznym zwłóknieniem płuc (IPF). IPF i niektóre rodzaje uILD są pod wieloma względami podobne. Badacze chcieli dowiedzieć się więcej na temat tego, czy pirfenidon może pomóc również osobom z uILD.

W badaniu tym oceniono także nową metodę pomiaru czynności płuc polegającą na samodzielnych, codziennych pomiarach czynności płuc przez pacjentów w domu. Jednak urządzenia służące do pomiaru czynności płuc, które pacjenci zabrali do domu, ustawiono tak, aby najlepsze ich działanie uzyskać przy wykonywaniu trzech pomiarów dziennie. W omawianym badaniu uczestnicy mierzyli czynność płuc raz dziennie, a więc nie otrzymywali ostrzeżeń wysyłanych przez spirometr, jeśli popełnili błąd. Oznaczało to, że spirometry zapisywały czasem nierealne wartości czynności płuc, a badacze nie mogli uzyskać danych potrzebnych do oceny, czy pirfenidon wywierał wpływ na czynność płuc mierzoną w warunkach domowych



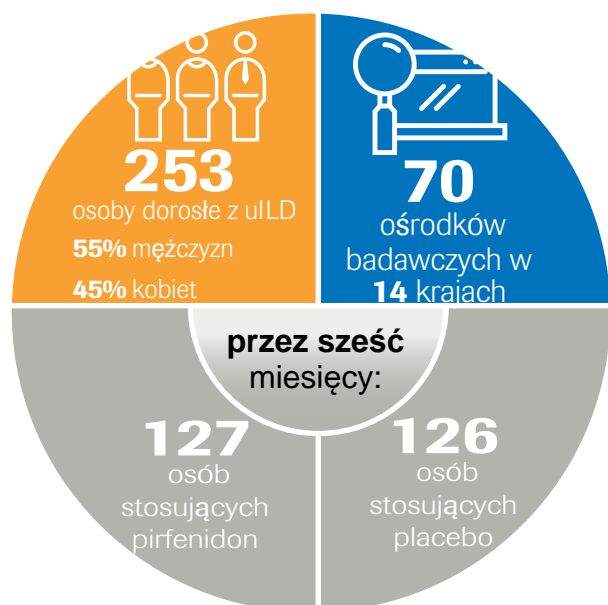
Śródmiąższowe choroby płuc (ILD) to grupa chorób, w których płuca bliznowaceją, a oddychanie staje się trudne. uILD rozpoznaje się wtedy, gdy lekarze nie są pewni, jaki rodzajILD występuje u pacjenta.

Uczestnicy raz w miesiącu zgłaszali się do szpitala w celu przeprowadzenia badań czynnościowych płuc. Badania te pokazały, że czynność płuc osób, które stosowały placebo, pogorszyła się w czasie 6 miesięcy w porównaniu do osób stosujących pirfenidon.

Poważne działania uboczne zgłaszało mniej niż 1% osób (1 na 127 osób) stosujących pirfenidon. Poważne działania uboczne zgłaszało mniej niż 1% osób (1 na 124 osób) stosujących placebo.

! Szczegółowe informacje o badaniu można znaleźć na stronie: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03099187>

## Kto uczestniczył w badaniu?



## Jakie badania diagnostyczne wykonano?

Badacze chcieli ustalić, jak bardzo zmieniły się wartości poniżej wymienionych parametrów od momentu rozpoczęcia badania do 6. miesiąca jego trwania

### Czynność płuc

Nateżona pojemność życiowa  
objętość powietrza wydychanego z płuc po możliwie najgłębszym wdechu

Mierzona w warunkach domowych codziennie

Mierzona w warunkach szpitalnych co miesiąc

Zdolności dyfuzji gazów w płucach  
stopień w jakim płuca pacjenta transportują tlen z wdychanego powietrza do krwiobiegu

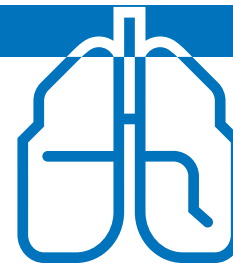
Dystans 6-minutowego marszu

Uczestnicy badania wypełnili ankiety w celu oceny ich opinii dotyczącej doświadczanych objawów (duszność i kaszel) oraz ogólnego samopoczucia (jakości życia)

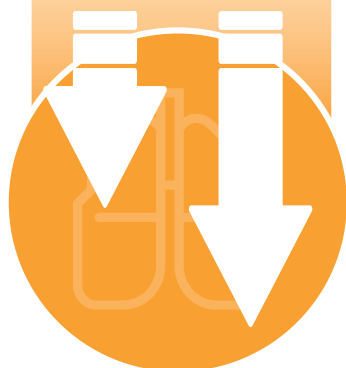
Inne badania

## Jakie są kluczowe wyniki uzyskane w badaniu?

Urządzenia służące do pomiaru czynności płuc, które pacjenci zabrali do domu, ustawiono tak, aby najlepsze ich działanie uzyskać przy wykonywaniu trzech pomiarów dziennie. W omawianym badaniu uczestnicy mierzyli czynność płuc raz dziennie, a więc nie otrzymywali ostrzeżeń wysyłanych przez spirometr, jeśli popełnili błąd. Oznaczało to, że spirometry akceptowały czasem nierealne wartości czynności płuc, a badacze nie mogli uzyskać danych potrzebnych do oceny, czy pirfenidon wywierał wpływ na czynność płuc mierzoną w warunkach domowych. Jednak pomiary wykonywane w szpitalu dały oczekiwane wyniki:

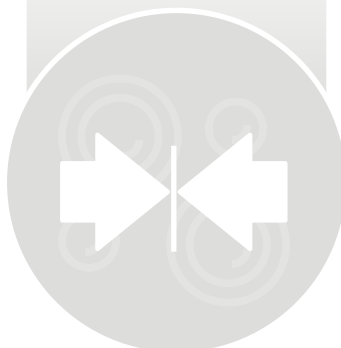


Natężona pojemność życiowa pogorszyła się w grupie osób stosujących placebo w porównaniu z osobami stosującymi pirfenidon



pirfenidon placebo  
**-18mL -113mL**

Zdolności dyfuzji gazów w płucach Różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić czy pirfenidon wywiera wpływ



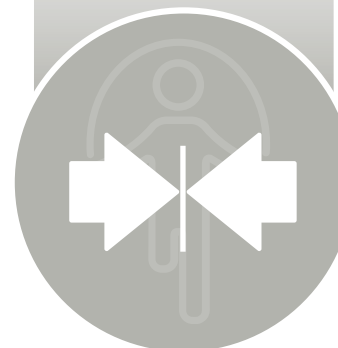
pirfenidon placebo  
**-1% -3%**

Dystans w teście 6-minutowego marszu pogorszył się w grupie osób stosujących placebo w porównaniu z osobami stosującymi pirfenidon



pirfenidon placebo  
**-2m -27m**

Duszność, kaszel i jakość życia różnice między grupami były zbyt małe, aby stwierdzić czy pirfenidon wywiera wpływ



Gdzie mogę znaleźć dodatkowe informacje? Dodatkowe informacje o omawianym badaniu można znaleźć na wymienionych poniżej stronach internetowych:

<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>

Jeśli chciałby/chciałaby Pan/Pani dowiedzieć się więcej o wynikach uzyskanych w omawianym badaniu, pełny tytuł pracy naukowej na ten temat to: „Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial” („Pirfenidon u pacjentów z nieklasyfikowaną, postępującą włókniejącą chorobą śródmiąższową płuc: randomizowane badanie fazy II prowadzone metodą podwójnie ślepej próby z kontrolą placebo”). Autorami tej pracy są: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer i inni. Artykuł został opublikowany w czasopiśmie Lancet Respiratory Medicine. Jeśli po przeczytaniu niniejszego podsumowania będzie Pan/Pani miał/a jakiegokolwiek pytania: Proszę wejść na platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy: <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable-64703.html> lub proszę skontaktować się z miejscowym przedstawicielem firmy Roche.

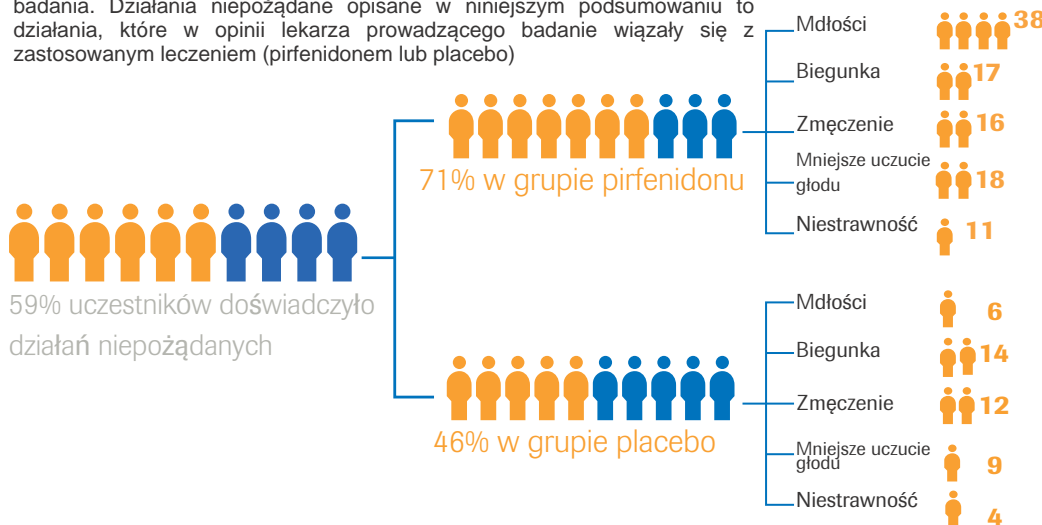
Jeśli uczestniczył/a Pan/Pani w tym badaniu i ma Pan/Pani pytania dotyczące wyników: Proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie bądź personelem szpitala lub ośrodka w którym przeprowadzono badanie. W przypadku jakichkolwiek pytań na ten temat Pana/Pani leczenia: Proszę zwrócić się do lekarza odpowiadającego za Pana/Pani leczenie.

Czy planuje się inne badania? W chwili sporządzania niniejszego streszczenia nie planuje się dalszych badań oceniających pirfenidon u osób z uILD. Badanie rozpoczęło w maju 2017 roku, a jego zakończenie przewiduje się na styczeń 2020 roku. Składa się ono z dwóch części. W części pierwszej oceniano działanie badanego leku i bezpieczeństwo jego stosowania. Druga część badania będzie się skupiać na ocenie bezpieczeństwa tego leku. W niniejszym podsumowaniu przedstawiono wyniki uzyskane do listopada 2018 roku. Przedstawiono w nim pełne wyniki z pierwszej części badania. W czasie sporządzania niniejszego podsumowania druga część badania nadal trwa.

Kto zorganizował i zapłacił za to badanie? Badanie zostało zorganizowane i sfinansowane przez firmę F Hoffmann-La Roche Ltd z siedzibą w Bazylei w Szwajcarii. Początkowo badanie planowano w ramach ufundowanego przez NIHR stypendium dla naukowców klinicznych, które otrzymał Profesor Toby M. Maher (NIHR Ref: CS-2013-13-017), a następnie zaadaptowano po rozmowach z F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

## Czy występowały działania uboczne?

Działania uboczne, zwane również działaniami niepożądanymi, to niechciane problemy medyczne (np. bóle głowy), jakie mogą pojawić się w czasie badania. Działania niepożądane opisane w niniejszym podsumowaniu to działania, które w opinii lekarza prowadzącego badanie wiązały się z zastosowanym leczeniem (pirfenidone lub placebo)



W trakcie tego badania zgłoszono dwa ciężkie działania niepożądane. Jedno z nich wystąpiło u pacjenta stosującego pirfenidon (mniejsze uczucie głodu), a drugie u pacjenta stosującego placebo (zaburzenia czynności wątroby).

W czasie trwania badania niektórzy pacjenci zdecydowali o zaprzestaniu stosowania leku:

- W grupie pirfenidonu 25 z 127 osób (20%) przerwało leczenie pirfenidone; u 16 z 127 osób (13%) decyzja ta była spowodowana wystąpieniem działania ubocznego związanego z lekiem.
- W grupie placebo 10 z 124 osób (8%) przerwało stosowanie placebo; u 1 z 124 osób (mniej niż 1%) decyzja ta była spowodowana wystąpieniem działania ubocznego związanego z lekiem.