

Resultados do Ensaio Clínico – Resumo

Um estudo para analisar se a pirfenidona funcionava em pessoas com doença pulmonar intersticial não classificável, e quão seguro era o medicamento

Consulte o título completo do estudo no final do resumo.

Índice do resumo

1. Informação geral sobre este estudo
2. Quem participou neste estudo?
3. O que aconteceu durante o estudo?
4. Quais foram os resultados do estudo?
5. Quais foram os efeitos secundários?
6. Como é que este estudo contribuiu para a investigação?
7. Existem planos para outros estudos?
8. Onde posso encontrar mais informação?
9. Glossário
10. Resumo infográfico

Sobre este resumo

Este resumo dos resultados de um ensaio clínico (designado “estudo”, neste documento) foi escrito para:

- A população em geral, e
- Os participantes no estudo.

Este resumo baseia-se nas informações conhecidas na altura em que foi redigido (setembro de 2019). Atualmente, podem ser conhecidas mais informações.

O estudo iniciou-se em maio de 2017 e terminará em janeiro de 2020. Este estudo tem duas partes. Na primeira parte do estudo, analisou-se quão bem o medicamento em estudo funcionava, e quão seguro o medicamento era. A segunda parte do estudo irá focar-se na segurança do medicamento.

Este resumo inclui os resultados até novembro de 2018. Este resumo apresenta os resultados completos da primeira parte do estudo. Quando este resumo foi redigido, a segunda parte do estudo ainda se encontrava a decorrer.

Nenhum estudo pode, por si só, dizer-nos tudo sobre os riscos e benefícios de um medicamento. São necessários muitos participantes em muitos estudos para se averiguar tudo o que precisamos de saber. Os resultados deste estudo podem ser diferentes dos de outros estudos com o mesmo medicamento.

Isto significa que não deve tomar decisões com base apenas neste resumo. Deve sempre falar com o seu médico antes de tomar decisões sobre o seu tratamento.

Agradecimento aos participantes neste estudo

Os participantes neste estudo estão a ajudar os investigadores a responder a questões importantes sobre a doença pulmonar intersticial não classificável e sobre a pirfenidona.

Informações principais sobre este estudo

- Este estudo foi realizado para comparar a pirfenidona (o “medicamento em estudo”) com um placebo, em pessoas com doença pulmonar intersticial não classificável
- Neste estudo, os participantes receberam:
 - 801 mg de pirfenidona tomada por via oral, três vezes por dia, ou
 - Um placebo
- O tratamento a administrar a cada participante foi decidido aleatoriamente
- Este estudo tem duas partes. Na primeira parte do estudo, analisou-se quão bem a pirfenidona funcionava, e quão segura era. A segunda parte irá focar-se na segurança de pirfenidona
 - Este resumo apresenta os resultados da primeira parte do estudo. Quando o resumo foi redigido, a segunda parte do estudo ainda se encontrava a decorrer
- Este estudo incluiu 253 participantes em 14 países
- Neste estudo, foi testada uma nova forma de medir a função pulmonar, e foi pedido aos participantes que medissem a sua própria função pulmonar em casa, todos os dias
- Neste estudo, a função pulmonar também foi medida durante as visitas hospitalares
- Os dispositivos que os participantes levaram consigo para casa para medir a sua função pulmonar estavam configurados para obter os melhores resultados se fossem realizadas três medições por dia. Neste ensaio, os participantes mediram a sua função pulmonar uma vez por dia, o que significa que o espirómetro não os avisava em caso de terem cometido algum erro
 - Isto significa que os espirómetros registaram alguns valores impossíveis de função pulmonar, pelo que os investigadores não puderam recolher a informação de que necessitavam para averiguar se a pirfenidona tinha algum efeito na função pulmonar, quando era medida em casa
- Os testes de função pulmonar realizados no hospital decorreram conforme previsto e demonstraram que os pulmões dos participantes que tomaram placebo pioraram, ao longo de 6 meses, em comparação com os dos participantes que tomaram pirfenidona
- Menos de 1% dos participantes (1 em cada 127 participantes) que tomaram pirfenidona sofreram efeitos secundários graves. Menos de 1% dos participantes (1 em cada 124 participantes) que tomaram o placebo sofreram efeitos secundários graves

1. Informação geral sobre este estudo

Porque é que este estudo foi realizado?

As doenças intersticiais pulmonares (DPIs) são doenças em que os pulmões sofrem uma cicatrização e em que a respiração se torna difícil. Existem muitos tipos diferentes de DPI. Fala-se em DPI não classificável quando os médicos não têm a certeza do tipo de DPI que uma pessoa tem.

Não existem medicamentos para tratar pessoas com DPI não classificável.

O medicamento “pirfenidona” ajuda pessoas com um tipo de DPI designado fibrose pulmonar idiopática (FPI). A FPI e alguns tipos de DPI não classificável são semelhantes em muitos aspetos. Os investigadores procuraram saber se a pirfenidona também poderia ajudar pessoas com DPI não classificável.

Qual foi o medicamento em estudo?

Este estudo focou-se num medicamento chamado “pirfenidona” (Esbriet®).

- A pirfenidona atua atrasando a cicatrização (fibrose) dos pulmões em pessoas com FPI.
- Isto pode significar que a pirfenidona também pode atrasar a cicatrização dos pulmões em pessoas com DPI não classificável.

A pirfenidona foi comparada com um “placebo”.

- A cápsula de placebo era igual à de pirfenidona, mas não continha qualquer medicamento verdadeiro. Isto significa que não tinha qualquer efeito terapêutico no organismo.
- Os investigadores compararam a pirfenidona com um placebo para poderem demonstrar que benefícios ou efeitos secundários são realmente provocados pela pirfenidona.

O que é que os investigadores procuraram averiguar?

- Os investigadores realizaram este estudo para comparar pirfenidona com um placebo, para analisar quão bem o medicamento em estudo funcionava (ver secção 4 “Quais foram os resultados do estudo?”).
- Também procuraram averiguar quão seguro o medicamento era, analisando o número de participantes que sofreram efeitos secundários ao tomar pirfenidona ou um placebo durante este estudo (ver secção 5, “Quais foram os efeitos secundários?”).

A questão principal a que os investigadores procuraram responder foi:

1. A pirfenidona tem efeito no declínio da função pulmonar ao longo de 6 meses, quando medida em casa, todos os dias?

Outras questões a que os investigadores procuraram responder incluíram:

2. A pirfenidona tem efeito no declínio da função pulmonar ao longo de 6 meses, quando medida nas visitas hospitalares, todos os meses?
3. A pirfenidona tem efeito na distância que os participantes no estudo conseguiam percorrer em 6 minutos?
4. Os participantes no estudo sentiram que a pirfenidona reduziu os seus sintomas?

Que tipo de estudo foi este?

Este estudo foi um estudo de “Fase 2”. Isto significa que a pirfenidona tinha sido testada em algumas pessoas antes deste estudo, mas este foi o primeiro estudo em pessoas com DPI não classificável.

O estudo foi “aleatorizado”. Isto significa que foi decidido “à sorte” quais os participantes que iriam receber pirfenidona, como no lançamento de uma moeda. Neste estudo, os participantes com DPI não classificável receberam pirfenidona ou placebo.

Este estudo foi “em dupla ocultação”. Isto significa que nem os participantes no estudo nem os médicos do estudo sabiam quem estava a tomar pirfenidona.

A “ocultação” de um estudo é feita para que qualquer efeito do medicamento observado não tenha surgido porque os participantes esperavam que surgisse, o que poderia acontecer se soubessem qual dos medicamentos estavam a tomar.

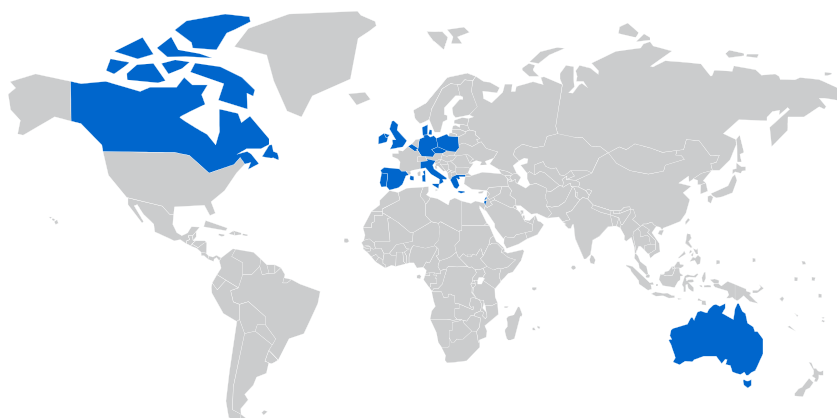
Quando e onde é que o estudo decorreu?

O estudo iniciou-se em maio de 2017 e terminará em janeiro de 2020. Este estudo tem duas partes. Na primeira parte do estudo, analisou-se quão bem o medicamento em estudo funcionava, e quão seguro o medicamento era. A segunda parte do estudo irá focar-se na segurança do medicamento.

Este resumo inclui os resultados até novembro de 2018. Este resumo apresenta os resultados completos da primeira parte do estudo. Quando este resumo foi redigido, a segunda parte do estudo ainda se encontrava a decorrer.

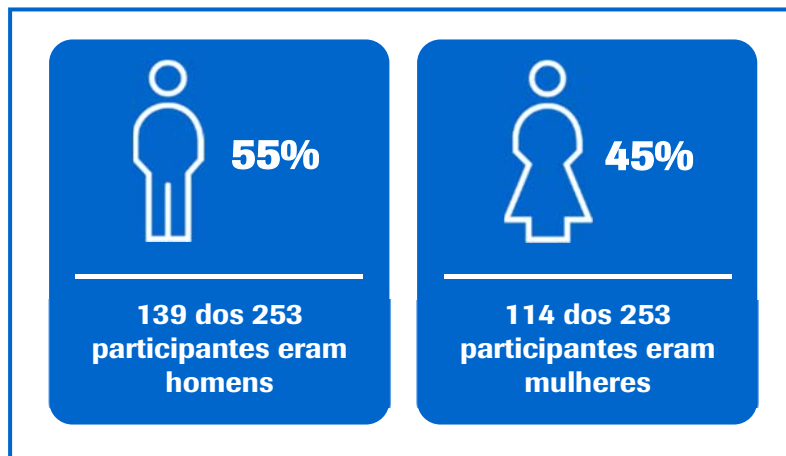
O estudo decorreu em 70 centros de estudo, em 14 países. O mapa seguinte apresenta os países onde o estudo decorreu.

- Austrália
- Bélgica
- Canadá
- República Checa
- Dinamarca
- Alemanha
- Grécia
- Irlanda
- Israel
- Itália
- Polónia
- Portugal
- Espanha
- Reino Unido



2. Quem participou neste estudo?

Neste estudo, participaram 253 adultos com DPI não classificável.



As pessoas podiam participar no estudo se cumprissem os seguintes critérios:

- Tinham DPI não classificável, que estava a piorar.
- Mais de 10% do tecido dos pulmões apresentava cicatrização (fibrose).
- Tinham pelo menos 45% da função pulmonar que seria de esperar para uma pessoa saudável com a mesma idade e do mesmo sexo.

As pessoas não podiam participar no estudo se cumprissem os seguintes critérios:

- Tinham outros problemas de saúde graves.
- Tomavam determinados medicamentos.
- Fumavam ou só tinham deixado de fumar nos 3 meses anteriores.

3. O que aconteceu durante o estudo?

Durante o estudo, os participantes foram selecionados, "à sorte", para receber um dos dois tratamentos. Os tratamentos foram selecionados aleatoriamente por um computador.

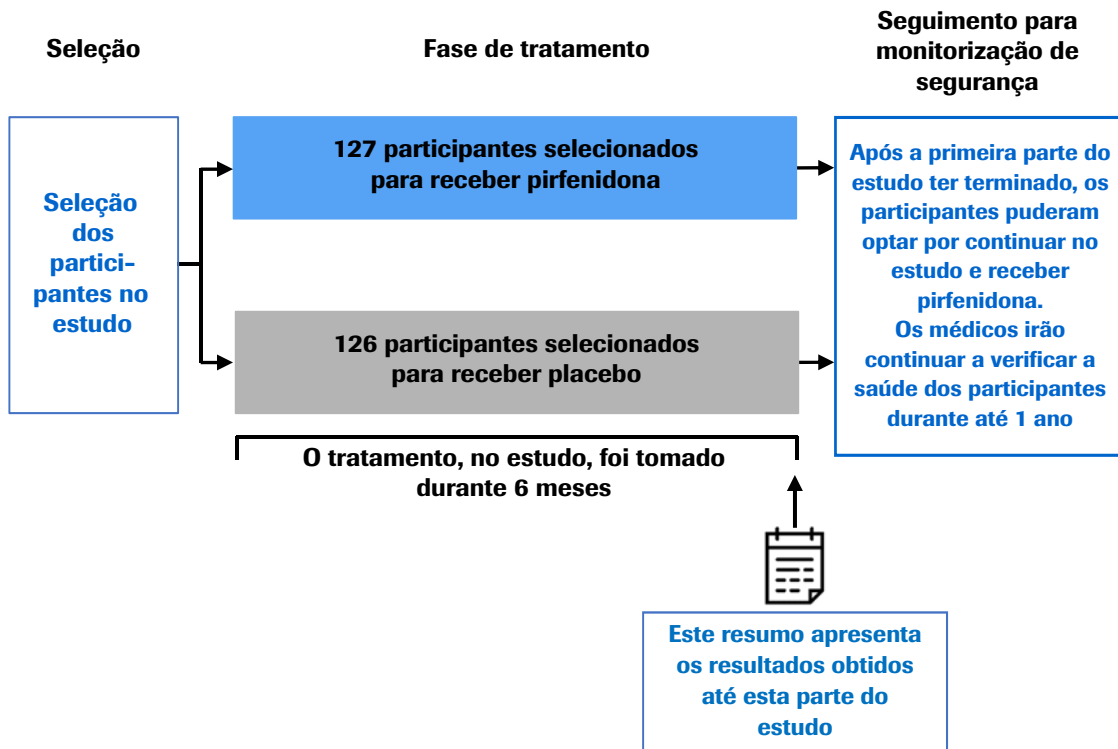
Os participantes no estudo fizeram os tratamentos durante 6 meses. Os participantes fizeram visitas hospitalares uma vez por mês durante os 6 meses enquanto estavam a fazer o tratamento. A esta parte do estudo dá-se o nome de fase de tratamento.

Os grupos de tratamento foram:

- **Pirfenidona** (o medicamento em estudo) – 801 miligramas (801 mg), tomada por via oral, 3 vezes por dia.
- **Placebo** – tomado por via oral, 3 vezes por dia.

Ao fim de 6 meses, os participantes vieram a saber se tinham estado a tomar pirfenidona ou placebo durante a fase de tratamento. Os participantes podiam optar por participar na segunda parte do estudo. À segunda parte do estudo dá-se o nome de seguimento para monitorização da segurança. Os participantes que tomaram pirfenidona na fase de tratamento continuaram a tomá-la no seguimento para monitorização da segurança. Os participantes que tomaram placebo na fase de tratamento mudaram para pirfenidona no seguimento para monitorização da segurança. O seguimento para monitorização de segurança ainda se encontra a decorrer, o que significa que algumas pessoas ainda estão a ser tratadas com pirfenidona.

Este resumo apresenta os resultados da fase de tratamento do estudo. O gráfico abaixo mostra mais informações sobre o que aconteceu no estudo.



4. Quais foram os resultados do estudo?

Questão 1: A pirfenidona tem efeito no declínio da função pulmonar ao longo de 6 meses, quando medida em casa, todos os dias?

Foi fornecido um dispositivo (espirómetro) aos participantes no estudo, para levarem para casa. O espirómetro mede a quantidade de ar que os participantes conseguiam expirar após inspirar fundo (capacidade vital forçada). Cada participante mediu a sua capacidade vital forçada todos os dias, em casa.

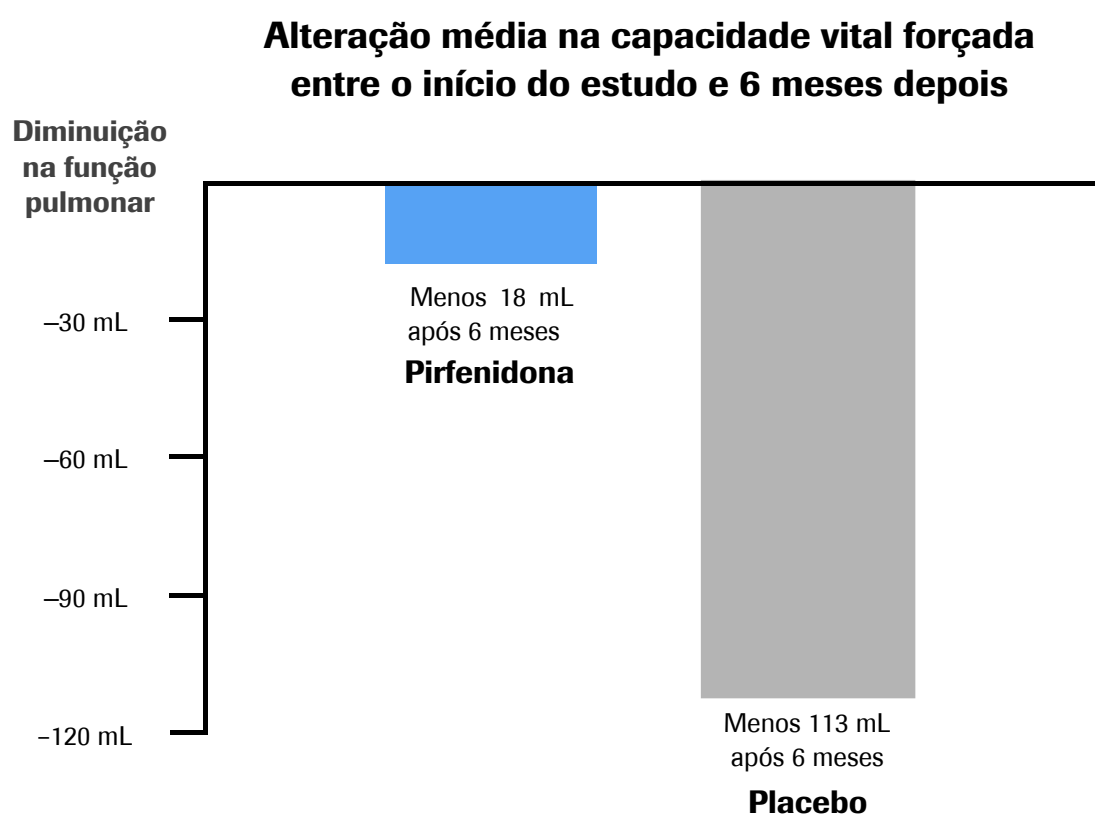
- Os dispositivos que os participantes levaram consigo para casa para medir a sua função pulmonar estavam configurados para obter os melhores resultados se fossem realizadas três medições por dia. Neste ensaio, os participantes mediram a sua função pulmonar uma vez por dia, o que significa que o espirómetro não os avisava em caso de terem cometido algum erro.
- Isto significa que os espirómetros registaram alguns valores impossíveis de função pulmonar, pelo que os investigadores não puderam recolher a informação de que necessitavam para averiguar se a pirfenidona tinha algum efeito na função pulmonar, quando era medida em casa.

Questão 2: A pirfenidona tem efeito no declínio da função pulmonar ao longo de 6 meses, quando medida nas visitas hospitalares, todos os meses?

Os investigadores também utilizaram o método tradicional de medição da função pulmonar, a capacidade vital forçada medida no hospital. Os participantes deslocaram-se ao hospital uma vez por mês, durante 6 meses, para medir a função pulmonar.

Os investigadores procuraram saber qual a alteração na capacidade vital forçada entre o início do estudo e 6 meses depois. Compararam as alterações nos grupos de pirfenidona e de placebo, para avaliar se havia diferença.

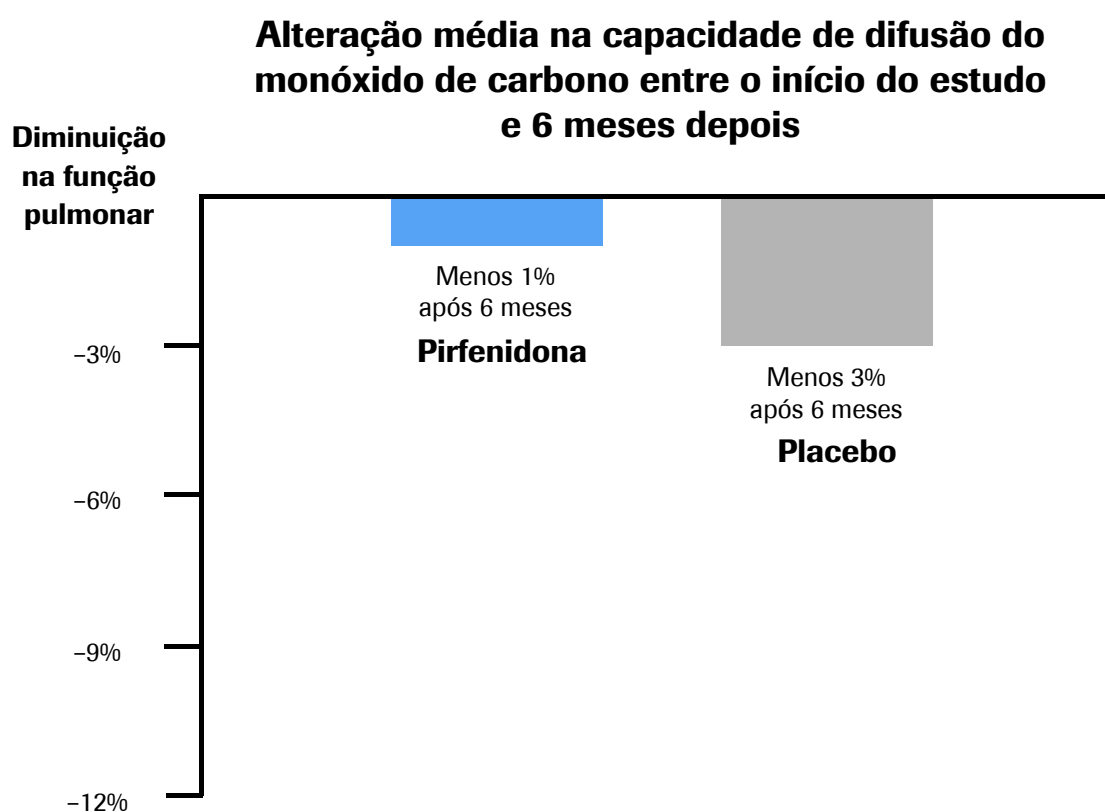
- A função pulmonar piorou em ambos os grupos.
- A função pulmonar piorou mais no grupo de participantes a tomar placebo do que no grupo de participantes a tomar pirfenidona.



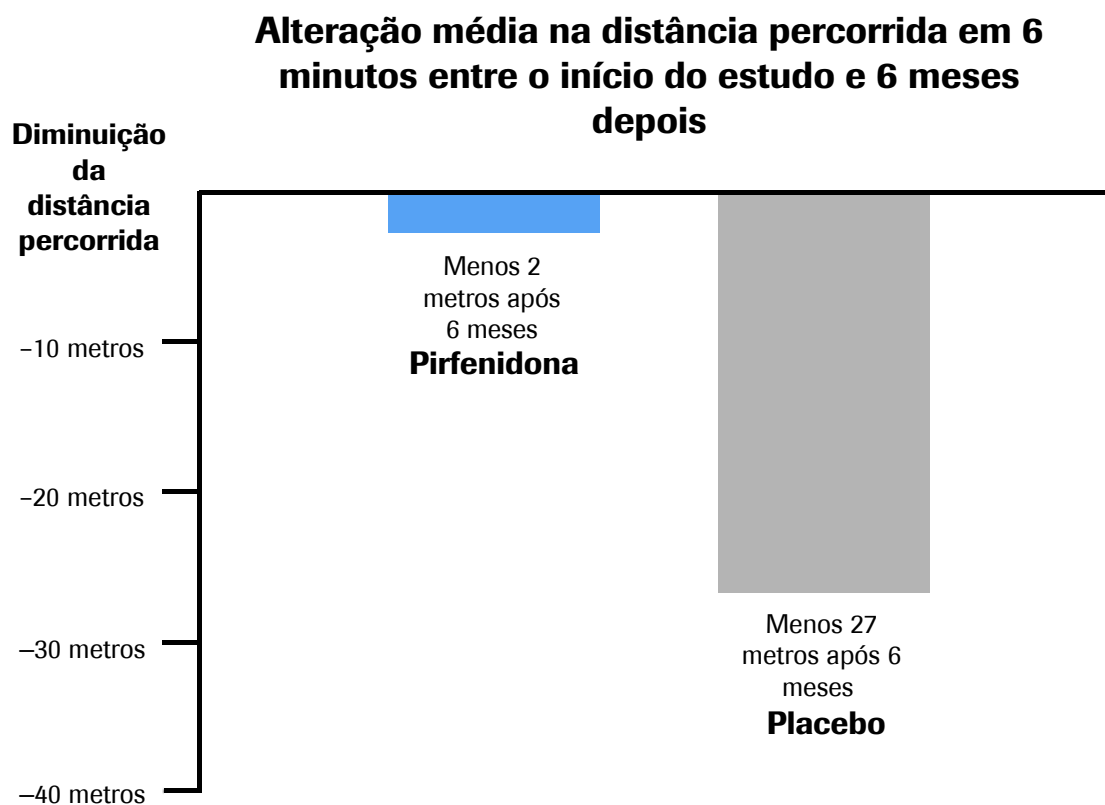
A capacidade vital forçada não é a única forma de medir a função pulmonar. Os investigadores mediram a forma como os pulmões dos participantes transportavam oxigénio para o sangue (capacidade de difusão do monóxido de carbono). Os resultados foram apresentados na forma da percentagem do valor que seria de esperar para uma pessoa saudável com a mesma idade e do mesmo sexo. Por exemplo, se os pulmões de uma pessoa com DPI não classificável transportarem oxigénio com metade da eficiência de uma pessoa sem a doença, a pessoa com DPI não classificável tem uma capacidade de difusão do monóxido de carbono de 50%.

Os investigadores procuraram saber qual a alteração na capacidade de difusão do monóxido de carbono entre o início do estudo e 6 meses depois. Compararam as alterações nos grupos de pirfenidona e de placebo, para avaliar se havia diferença.

- A capacidade de difusão do monóxido de carbono piorou em ambos os grupos.
- As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se a pirfenidona teve algum efeito na capacidade de difusão do monóxido de carbono.



Questão 3: A pirfenidona tem efeito na distância que os participantes no estudo conseguiam percorrer em 6 minutos?



Os investigadores também analisaram a distância que os participantes no estudo conseguiam percorrer em 6 minutos (distância percorrida em 6 minutos).

Analisou-se a distância percorrida em 6 minutos porque as pessoas com DPI ficam facilmente com falta de ar e podem ter dificuldade em percorrer a distância que conseguiam percorrer antigamente.

Os investigadores procuraram saber qual a alteração na distância percorrida em 6 minutos entre o início do estudo e 6 meses depois. Compararam as alterações nos grupos de pirfenidona e de placebo, para avaliar se havia diferença.

- A distância percorrida em 6 minutos diminuiu em ambos os grupos.
- A distância percorrida em 6 minutos diminuiu mais no grupo de participantes a tomar placebo do que no grupo de participantes a tomar pirfenidona.

Questão 4: As pessoas com DPI não classificável sentem que a pirfenidona reduziu os seus sintomas?

Os sintomas de DPI não classificável não podem ser eliminados, mas alguns tratamentos podem ajudar a reduzir o impacto dos sintomas na vida diária. Os investigadores pediram aos participantes no estudo que preenchessem vários questionários com questões sobre a falta de ar e tosse. Os investigadores também colocaram questões aos participantes sobre o seu bem estar geral (qualidade de vida). Os investigadores colocaram questões sobre o bem estar porque as pessoas com DPI podem sentir-se deprimidas ou limitadas pelos seus sintomas.

- Os participantes nos grupos de pirfenidona e placebo responderam de forma semelhante aos questionários.
- As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se a pirfenidona teve algum efeito na falta de ar, na tosse ou na qualidade de vida.

5. Quais foram os efeitos secundários?

Os efeitos secundários, também conhecidos por “reações adversas”, são problemas de saúde indesejáveis (tal como uma dor de cabeça) que ocorrem durante o estudo.

- Estão descritos neste resumo porque o médico do estudo pensa que os efeitos secundários estavam relacionados com os tratamentos do estudo (pirfenidona ou placebo). Podia considerar-se que os efeitos secundários estavam relacionados com o placebo porque os médicos do estudo não sabiam se os participantes estavam a tomar pirfenidona ou placebo.
- Nem todos os participantes neste estudo sofreram todos os efeitos secundários.

Os efeitos adversos graves e mais frequentes estão listados nas secções seguintes.

Efeitos secundários graves

Considera-se que um efeito secundário é “grave” se for potencialmente fatal, exigir cuidados hospitalares ou provocar problemas a longo prazo.

Durante este estudo, menos de 1 em cada 100 pessoas (menos de 1%) sofreram, pelo menos, um efeito secundário grave. Menos de 1% dos participantes a tomar pirfenidona sofreram um efeito secundário grave. Menos de 1% dos participantes a tomar placebo sofreram um efeito secundário grave.

Foram notificados dois efeitos secundários graves neste estudo. Um ocorreu num participante a tomar pirfenidona, e o outro ocorreu num participante a tomar placebo.

	Participantes a tomar pirfenidona (127 participantes, no total)	Participantes a tomar placebo (124 participantes, no total)
Efeitos secundários graves notificados neste estudo	Falta de apetite Menos de 1% (1 em 127 participantes)	Problemas de fígado Menos de 1% (1 em 124 participantes)

Nenhum participante neste estudo faleceu devido a efeitos secundários que possam ter estado relacionados com um dos medicamentos em estudo.

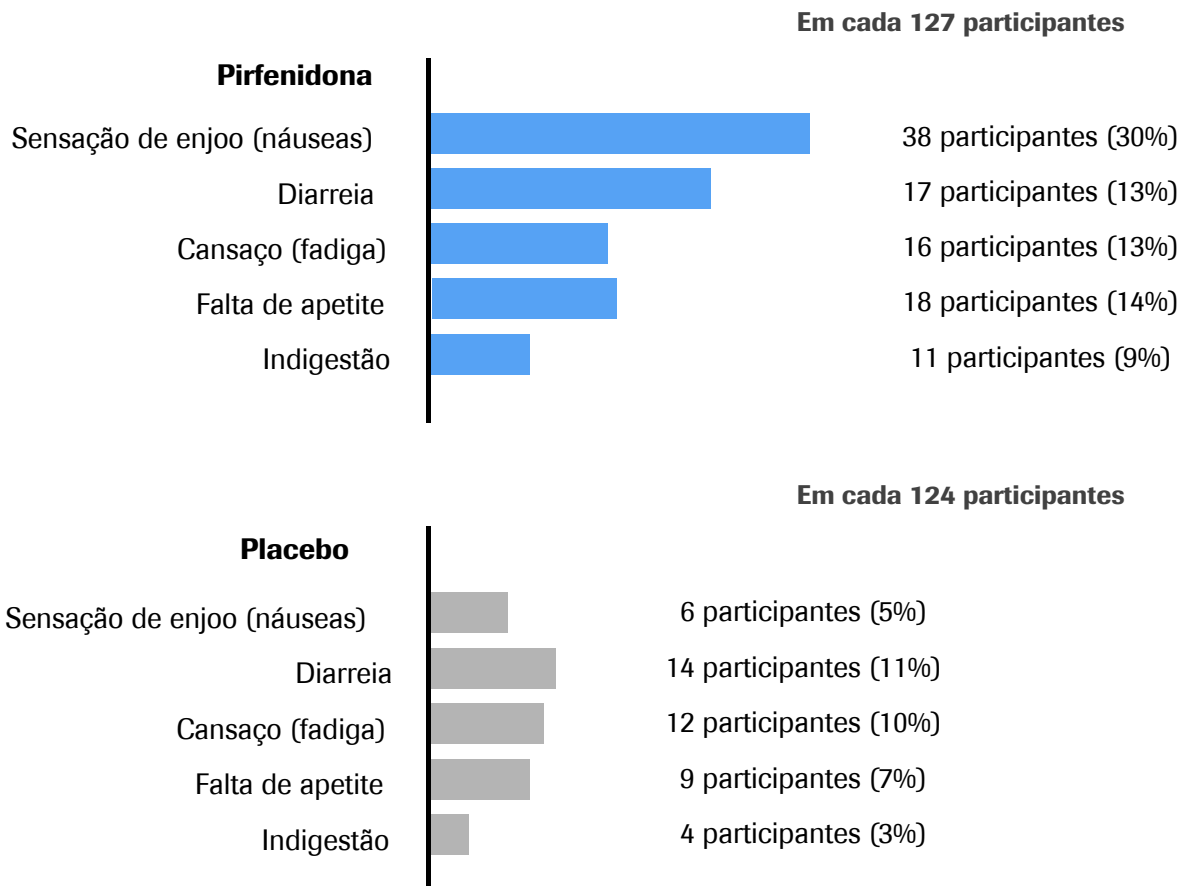
Durante o estudo, alguns participantes decidiram parar de tomar o medicamento:

- No grupo de pirfenidona, 25 dos 127 participantes (20%) pararam de tomar o medicamento; em 16 dos 127 participantes (13%), isto deveu-se a um efeito secundário relacionado com o medicamento.
- No grupo de placebo, 10 dos 124 participantes (8%) pararam de tomar o medicamento; em 1 dos 124 participantes (1%), isto deveu-se a um efeito secundário relacionado com o medicamento.

Efeitos secundários mais frequentes

Durante este estudo, quase 60 em cada 100 participantes (59%) sofreram um efeito secundário. Cerca de 71% dos participantes que tomaram pirfenidona sofreram um efeito secundário, em comparação com 46% dos participantes que tomaram um placebo.

No gráfico seguinte, apresentam-se os efeitos secundários mais frequentes. Estes foram os cinco efeitos secundários mais frequentes em todos os participantes no estudo.



Outros efeitos secundários

Pode encontrar informações sobre outros efeitos secundários, não apresentados nas secções anteriores, nos sites da Internet referidos no fim deste resumo (ver secção 8).

6. Como é que este estudo contribuiu para a investigação?

As informações aqui apresentadas foram obtidas num único estudo em 253 pessoas com DPI. Estes resultados ajudaram os investigadores a saber mais sobre a DPI não classificável e a pirfenidona.

Neste estudo, foi testada uma nova forma de medir a função pulmonar, e foi pedido aos participantes que medissem a sua própria função pulmonar em casa, todos os dias. No entanto, os dispositivos que os participantes levaram consigo para casa para medir a sua função pulmonar estavam configurados para obter os melhores resultados se fossem realizadas três medições por dia. Neste ensaio, os participantes mediram a sua função pulmonar uma vez por dia, o que significa que o espirómetro não os avisava em caso de terem cometido algum erro. Isto significa que os espirómetros registaram alguns valores impossíveis de função pulmonar, pelo que os investigadores não puderam recolher a informação de que necessitavam para averiguar se a pirfenidona tinha algum efeito na função pulmonar, quando era medida em casa. Os investigadores terão de procurar saber como devem configurar os dispositivos para que não haja o mesmo problema em estudos clínicos a realizar no futuro.

Os participantes também fizeram visitas hospitalares para medição da função pulmonar e da distância percorrida em 6 minutos. Apesar de a capacidade vital forçada e a distância percorrida em 6 minutos terem piorado nos dois grupos, de pirfenidona e de placebo, os participantes que tomaram placebo pioraram mais do que os que tomaram pirfenidona.

Os investigadores também mediram a forma como os pulmões dos participantes transportavam oxigénio para o sangue (capacidade de difusão do monóxido de carbono). A capacidade de difusão do monóxido de carbono piorou em ambos os grupos de tratamento. As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se a pirfenidona teve algum efeito na capacidade de difusão do monóxido de carbono.

Os participantes no estudo preencheram questionários relativos à falta de ar, tosse e bem estar geral (qualidade de vida).

Os participantes nos grupos de pirfenidona e placebo responderam de forma semelhante ao questionário. As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se a pirfenidona teve algum efeito na falta de ar, na tosse ou na qualidade de vida.

Os investigadores também analisaram os problemas de saúde que os participantes tiveram durante o estudo. Menos de 1% dos participantes que tomaram pirfenidona sofreram um efeito secundário grave. Cerca de 71% dos participantes que tomaram pirfenidona sofreram um efeito secundário, em comparação com 46% dos participantes que tomaram o placebo.

Nenhum estudo pode, por si só, dizer-nos tudo sobre os riscos e benefícios de um medicamento. São necessários muitos participantes em muitos estudos para se averiguar tudo o que precisamos de saber. Os resultados deste estudo podem ser diferentes dos de outros estudos com o mesmo medicamento.

- Isto significa que não deve tomar decisões com base apenas neste resumo. Deve sempre falar com o seu médico antes de tomar decisões sobre o seu tratamento.

7. Existem planos para outros estudos?

Quando este resumo foi redigido, não estavam planeados mais estudos para avaliar a pirfenidona na DPI não classificável.

O estudo iniciou-se em maio de 2017 e terminará em janeiro de 2020. Este estudo tem duas partes. Na primeira parte do estudo, analisou-se quão bem o medicamento em estudo funcionava, e quão seguro o medicamento era. A segunda parte do estudo irá focar-se na segurança do medicamento.

Este resumo inclui os resultados até novembro de 2018. Este resumo apresenta os resultados completos da primeira parte do estudo. Quando este resumo foi redigido, a segunda parte do estudo ainda se encontrava a decorrer.

8. Onde posso encontrar mais informação?

Poderá encontrar mais informação sobre este estudo nos sites indicados abaixo (em inglês):

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

Se quiser saber mais sobre os resultados deste estudo, o título completo do artigo científico respetivo (em inglês) é: *“Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive fibrosing interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial”*. Os autores do artigo científico são: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer e outros. O artigo foi publicado na revista *“Lancet Respiratory Medicine”*.

Quem posso contactar, se tiver questões sobre este estudo?

Se participou neste estudo, e tem dúvidas sobre os resultados:

- Fale com o médico ou com a equipa do estudo no hospital ou clínica do estudo, que se necessário, entrarão em contacto com a Roche.

Se tem dúvidas sobre o seu próprio tratamento:

- Fale com o médico responsável pelo seu tratamento.

Quem organizou e financiou este estudo?

Este estudo foi organizado e financiado pela F. Hoffmann-La Roche Ltd, cuja sede é em Basileia, na Suíça. Este estudo começou por ser desenvolvido como parte de uma bolsa (Clinician Scientist Fellowship) financiada pelo instituto nacional para a investigação na saúde no Reino Unido (NIHR, National Institute for Health Research) e atribuída ao Professor Toby M. Maher (Referência NIHR: CS-2013-13-017). O estudo foi depois adaptado, após conversações com a F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Título completo do estudo e outros elementos de identificação

O título completo do estudo (em inglês) é: *“Multicenter, International, Double-Blind, Two-Arm, Randomized, Placebo-Controlled Phase II Trial of Pirfenidone in Patients with Unclassifiable Progressive Fibrosing ILD”*.

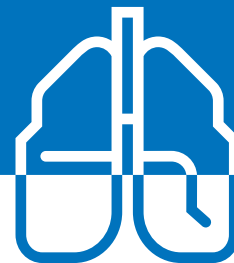
- O número do protocolo deste estudo é: MA39189.
- O número de identificação do ClinicalTrials.gov deste estudo é: NCT03099187.
- O número EudraCT deste estudo é: 2016-002744-17.

9. Glossário

Distância percorrida em 6 minutos	A distância que uma pessoa consegue percorrer em 6 minutos numa superfície plana
Capacidade de difusão do monóxido de carbono	A forma como os pulmões transportam oxigénio do ar para o sangue
Ensaio clínico	<p>Num ensaio (ou estudo) clínico, os investigadores dão um medicamento a um grupo de pessoas</p> <p>Os investigadores acompanham regularmente os participantes que estão a tomar o medicamento e fazem exames médicos</p> <p>Os ensaios clínicos procuram averiguar se um medicamento novo é seguro, se tem efeitos secundários, se funciona melhor do que o medicamento usado atualmente e se ajuda as pessoas a sentirem-se melhor</p>
Dupla ocultação	<p>Alguns ensaios clínicos incluem mais do que um tratamento, que os investigadores procuram comparar. Por exemplo, muitos ensaios clínicos incluem:</p> <ul style="list-style-type: none">• Um medicamento em estudo• Um placebo <p>Um estudo “em dupla ocultação” significa que nem os participantes no ensaio nem os médicos do estudo sabem que participantes estão a tomar o medicamento em estudo e que participantes estão a tomar o placebo</p>
Fadiga	Cansaço
Fibrose	Cicatrização
Capacidade vital forçada	A quantidade de ar que uma pessoa consegue expirar após inspirar fundo
Fibrose pulmonar idiopática (FPI)	<p>Uma doença em que os pulmões sofrem uma cicatrização e em que a respiração se torna difícil</p> <p>A fibrose pulmonar idiopática é um tipo de doença intersticial pulmonar</p>
Doenças intersticiais pulmonares (DPIs)	Um grupo de doenças em que os pulmões sofrem uma cicatrização e em que a respiração se torna difícil
Função pulmonar	A forma como os pulmões trabalham
Náuseas	Sensação de enjoo

Pirfenidona (Esbriet®)	<p>Um medicamento usado para tratar pessoas com fibrose pulmonar idiopática</p> <p>A pirfenidona atua atrasando a cicatrização dos pulmões em pessoas com fibrose pulmonar idiopática</p>
Estudo de Fase 2	<p>Os estudos de Fase 2 são feitos depois de um medicamento ter sido testado em pessoas sem problemas de saúde</p> <p>Um estudo de Fase 2 procura demonstrar que o medicamento proporciona um benefício real em pessoas com um problema de saúde</p>
Placebo	<p>Um tratamento num ensaio clínico que não contém qualquer medicamento verdadeiro</p> <p>Os participantes num ensaio clínico recebem um dos seguintes:</p> <ul style="list-style-type: none"> • O verdadeiro medicamento em estudo • Um placebo, que parece igual ao medicamento em estudo <p>Os placebos ajudam os investigadores a demonstrar que benefícios ou efeitos secundários são provocados pelo medicamento</p>
Qualidade de vida	Bem estar geral
Aleatorizado	<p>Alguns ensaios clínicos incluem mais do que um tratamento, que os investigadores procuram comparar. Por exemplo, muitos ensaios clínicos incluem:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Um medicamento em estudo • Um placebo <p>“Aleatorizado” significa que o tratamento recebido por cada participante no ensaio foi selecionado aleatoriamente por um computador</p>
Efeito secundário grave	Um efeito secundário potencialmente fatal, que exige cuidados hospitalares ou provoca problemas a longo prazo
Efeitos secundários	Problemas de saúde indesejáveis que surgem depois da toma de um medicamento
Espirómetro	Um dispositivo que mede a capacidade vital forçada (função pulmonar)
Doença pulmonar intersticial (DPI) não classificável	Quando os médicos não têm a certeza do tipo de DPI que uma pessoa tem

Um estudo de pirfenidona na doença pulmonar intersticial não classificável



Este resumo dos resultados de um ensaio clínico foi escrito em setembro de 2019 para a população em geral e para os participantes no estudo. Nenhum estudo pode, por si só, dizer-nos tudo sobre os riscos e benefícios de um medicamento. São necessários muitos participantes em muitos estudos para se averiguar tudo o que precisamos de saber. Os resultados deste estudo podem ser diferentes dos de outros estudos com o mesmo medicamento. Isto significa que não deve tomar decisões com base apenas neste resumo. Deve sempre falar com o seu médico antes de tomar decisões sobre o seu tratamento.

Resumo do estudo

Este estudo foi realizado para averiguar se a pirfenidona ajuda pessoas com uma doença pulmonar intersticial (DPI) não classificável, comparando os efeitos da pirfenidona com os de um placebo

A pirfenidona ajuda pessoas com um tipo de DPI designado fibrose pulmonar idiopática (FPI). A FPI e alguns tipos de DPI não classificável são semelhantes em muitos aspetos. Os investigadores procuraram saber se a pirfenidona também poderia ajudar pessoas com DPI não classificável

Neste estudo, foi também testada uma nova forma de medir a função pulmonar, e foi pedido aos participantes que medissem a sua própria função pulmonar em casa, todos os dias. No entanto, os dispositivos que os participantes levaram consigo para casa para medir a sua função pulmonar estavam configurados para obter os melhores resultados se fossem realizadas três medições por dia. Neste ensaio, os participantes mediram a sua função pulmonar uma vez por dia, o que significa que o espirómetro não os avisava em caso de terem cometido algum erro.

Isto significa que os espirómetros registaram alguns valores impossíveis de função pulmonar, pelo que os investigadores não puderam recolher a informação de que necessitavam para averiguar se a pirfenidona tinha algum efeito na função pulmonar, quando era medida em casa.



As doenças intersticiais pulmonares (DPIs) são doenças em que os pulmões sofrem uma cicatrização e em que a respiração se torna difícil. Fala-se em DPI não classificável quando os médicos não têm a certeza do tipo de DPI que uma pessoa tem.

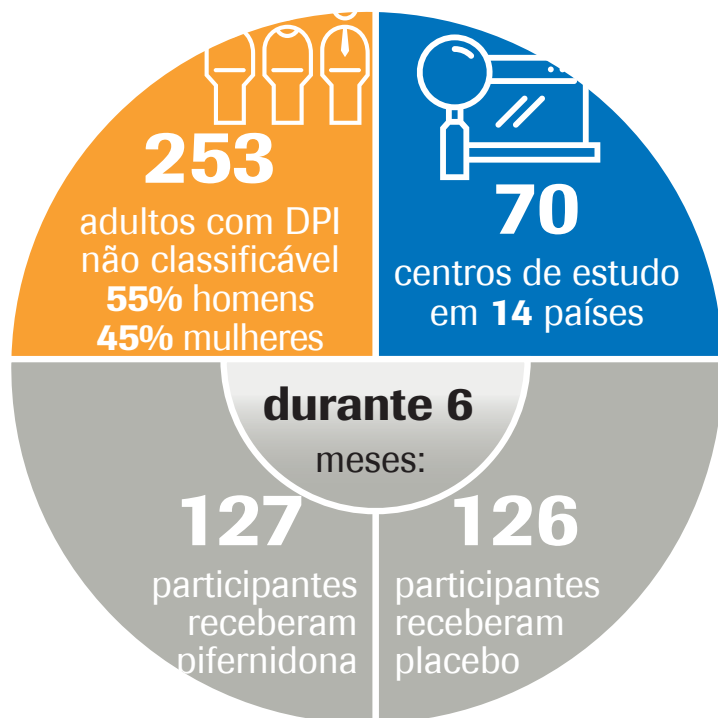
A função pulmonar dos participantes foi medida no hospital todos os meses durante o estudo. Estes testes demonstraram que a função pulmonar dos participantes que tomaram placebo pioraram, ao longo dos 6 meses, em comparação com a dos participantes que tomaram pirfenidona

Menos de 1% dos participantes (1 em cada 127 participantes) que tomaram pirfenidona sofreram efeitos secundários graves. Menos de 1% dos participantes (1 em cada 124 participantes) que tomaram o placebo apresentaram efeitos secundários graves



! Pode encontrar informação detalhada sobre este estudo em <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03099187>

Quem participou no estudo?



Que testes foram usados no estudo?

Os investigadores procuraram saber de que forma é que os resultados dos seguintes testes sofreram alterações entre o início do estudo e 6 meses depois

Função Pulmonar

Capacidade vital forçada

quantidade de ar que uma pessoa consegue expirar após inspirar fundo

Medida em casa todos os dias com espirómetros portáteis

Medida no hospital, uma vez por mês

A capacidade de difusão do monóxido de carbono

mede a forma como os pulmões dos participantes transportavam oxigénio para o sangue

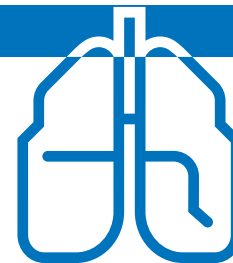
Distância percorrida em 6 minutos
distância que os participantes conseguiram percorrer em 6 minutos

Os participantes preencheram inquéritos para medir a forma como se sentiam em relação aos seus sintomas (falta de ar e tosse) e em relação ao seu bem estar geral (qualidade de vida)

Outros Testes

Quais foram os principais resultados do estudo?

Os dispositivos que os participantes levaram consigo para casa para medir a sua função pulmonar estavam configurados para obter os melhores resultados se fossem realizadas três medições por dia. Neste ensaio, os participantes mediram a sua função pulmonar uma vez por dia, o que significa que o espirómetro não os avisava em caso de terem cometido algum erro. Isto significa que os espirómetros admitiram alguns valores impossíveis de função pulmonar, pelo que os investigadores não puderam recolher a informação de que necessitavam para averiguar se a pirfenidona tinha algum efeito na função pulmonar, quando era medida em casa. No entanto, as medições feitas no hospital correram de acordo com o previsto:



Capacidade vital forçada

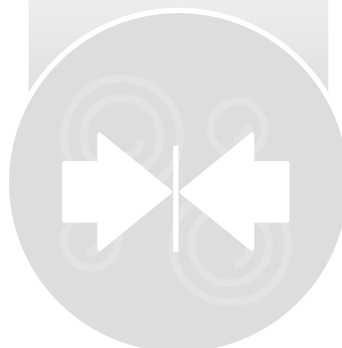
piorou mais no grupo de participantes a tomar placebo do que no grupo de participantes a tomar pirfenidona



pirfenidona placebo
-18mL -113mL

Capacidade de difusão do monóxido de carbono

As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se pirfenidona teve algum efeito



pirfenidona placebo
-1% -3%

Distância percorrida em 6 minutos

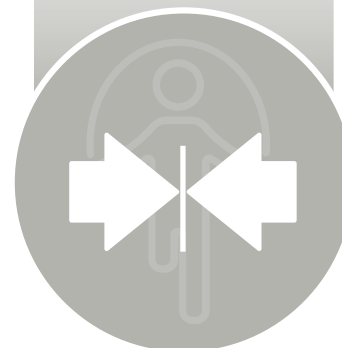
piorou mais no grupo de participantes a tomar placebo do que no grupo de participantes a tomar pirfenidona



pirfenidona placebo
-2m -27m

Falta de ar, tosse e qualidade de vida

As diferenças entre os dois grupos foram demasiado pequenas para se saber se pirfenidona teve algum efeito



Onde posso encontrar mais informações?

Poderá encontrar mais informação sobre este estudo nos sites indicados abaixo (em inglês):

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

Se quiser saber mais sobre os resultados deste estudo, o título completo do artigo científico respetivo (em inglês) é: "Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive fibrosing interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial". Os autores do artigo científico são: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer e outros. O artigo foi publicado na revista "Lancet Respiratory Medicine".

Caso ainda tenha dúvidas após ter lido este resumo:

Fale com o médico ou com a equipa do estudo no hospital ou clínica do estudo, que se necessário, entrarão em contacto com a Roche.

Se participou neste estudo, e tem dúvidas sobre os resultados:

Fale com o médico ou com a equipa do estudo no hospital ou clínica do estudo

Se tem dúvidas sobre o seu próprio tratamento:

Fale com o médico responsável pelo seu tratamento

Existem planos para outros estudos?

Quando este resumo foi redigido, não estavam planeados mais estudos para avaliar a pirfenidona na DPI não classificável

O estudo iniciou-se em maio de 2017 e terminará em janeiro de 2020. Este estudo tem duas partes. Na primeira parte do estudo, analisou-se quão bem o medicamento em estudo funcionava, e quão seguro o medicamento era. A segunda parte do estudo irá focar-se na segurança do medicamento

Este resumo incluiu os resultados até novembro de 2018. Este resumo apresenta os resultados completos da primeira parte do estudo. Quando este resumo foi redigido, a segunda parte do estudo ainda se encontrava a decorrer

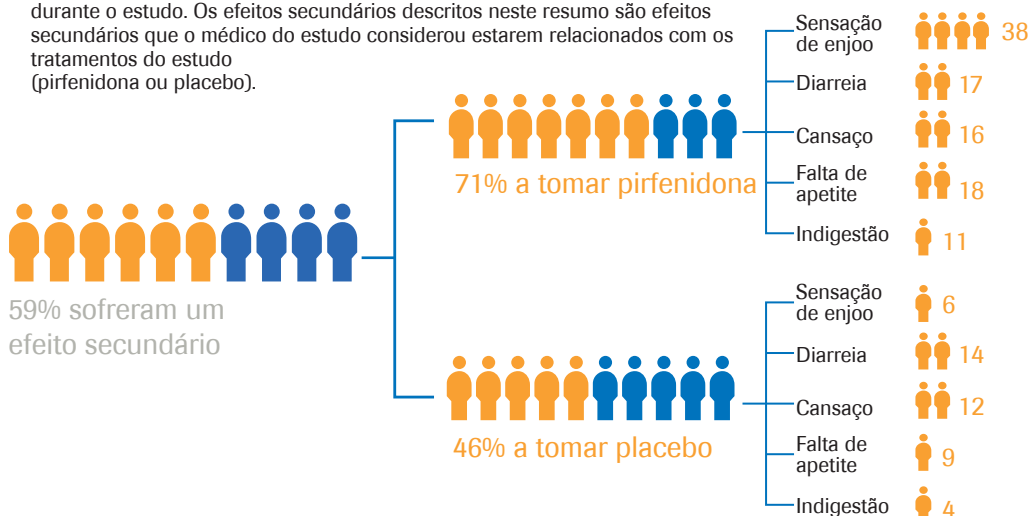
Quem organizou e financiou este estudo?

Este estudo foi organizado e financiado pela F. Hoffmann-La Roche Ltd, cuja sede é em Basileia, na Suíça.

Este estudo começou por ser desenvolvido como parte de uma bolsa (Clinician Scientist Fellowship) financiada pelo instituto nacional para a investigação na saúde no Reino Unido (NIHR, National Institute for Health Research) e atribuída ao Professor Toby M. Maher (Referência NIHR: CS-2013-13-017). O estudo foi depois adaptado, após conversações com a F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Houve efeitos secundários?

Os efeitos secundários, também conhecidos por "reações adversas", são problemas de saúde indesejáveis (tal como uma dor de cabeça) que ocorrem durante o estudo. Os efeitos secundários descritos neste resumo são efeitos secundários que o médico do estudo considerou estarem relacionados com os tratamentos do estudo (pirfenidona ou placebo).



Foram notificados dois efeitos secundários graves neste estudo. Um ocorreu num participante a tomar pirfenidona (falta de apetite), e o outro ocorreu num participante a tomar placebo (problemas de fígado).

Durante o estudo, alguns participantes decidiram parar de tomar o medicamento

- No grupo de pirfenidona, 25 de 127 participantes (20%) pararam de tomar o medicamento; em 16 de 127 participantes (13%), isto deveu-se a um efeito secundário relacionado com o medicamento
- No grupo de placebo, 10 de 124 participantes (8%) pararam de tomar o medicamento; em 1 de 124 participantes (1%), isto deveu-se a um efeito secundário relacionado com o medicamento