

Wyniki badania klinicznego – Podsumowanie dla osób nieposiadających wiedzy fachowej

Badanie porównujące bezpieczeństwo i skuteczność etrolizumabu z placebo u osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, długotrwałą chorobą, w której dochodzi do zapalenia dolnej części jelita.

Pełny tytuł badania znajduje się na końcu streszczenia.

O streszczeniu

Jest to streszczenie wyników badania klinicznego (zwanego w dalszej części niniejszego dokumentu „badaniem”) sporządzone dla:

- opinii publicznej oraz
- dla osób, które wzięły udział w badaniu.

Niniejsze streszczenie jest oparte na informacjach znanych w momencie jego sporządzania (listopad 2021). Obecnie mogą być znane dodatkowe informacje.

Badanie rozpoczęło się w sierpniu 2014 r., a zakończyło się w czerwcu 2020 r. Niniejsze streszczenie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Żadne badanie nie jest w stanie dostarczyć nam wszystkich informacji na temat zagrożeń i korzyści związanych z lekiem. Uzyskanie wszystkich niezbędnych informacji wymaga pracy wielu osób w różnych badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od innych badań dotyczących tego samego leku.

- Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji na podstawie tego jednego streszczenia — zawsze należy porozmawiać ze swoim lekarzem przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących swojego leczenia.

Spis treści streszczenia

1. Informacje ogólne na temat tego badania
2. Kto wzięł udział w tym badaniu?
3. Co się działo w trakcie badania?
4. Jakie były wyniki tego badania?
5. Jakie były działania niepożądane?
6. W jaki sposób to badanie pomogło badaniom naukowym?
7. Czy planowane są inne badania?
8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

Dziękujemy osobom, które wzięły udział w tym badaniu

Osoby, które wzięły udział w tym badaniu, pomogły badaczom uzyskać odpowiedzi na ważne pytania dotyczące leku badanego oraz choroby długoterminowej zwanej „wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego”, czyli choroby zapalnej jelit, w przebiegu których występuje stan zapalny dolnej części jelita.

Najważniejsze informacje na temat tego badania

Najważniejsze metody	Najważniejsze wyniki
<ul style="list-style-type: none">● Badanie to zostało przeprowadzone w celu porównania leku badanego, zwanego „etrolizumabem”, z placebo, które wyglądało tak samo jak lek badany, ale nie zawierało żadnego prawdziwego leku, u osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego. W ramach badania oceniane będzie również bezpieczeństwo stosowania etrolizumabu.● W tym badaniu pacjenci otrzymywali etrolizumab albo placebo. Decyzja taka została podjęta w sposób losowy przy użyciu komputera.● W tym badaniu wzięło udział 359 osób w 24 krajach.	<ul style="list-style-type: none">● Głównym wynikiem tego badania było to, że po 1 roku stosowania leczenia liczba osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, u których nastąpiło zmniejszenie stanu zapalnego i objawów, była ogólnie podobna u osób przyjmujących etrolizumab (30 na 100) i osób przyjmujących placebo (21 na 100).● U jednej osoby, która otrzymywała etrolizumab w obu częściach badania, wystąpiło ciężkie działanie niepożądane (ropień odbytniczy), które lekarz prowadzący badanie uznał za związane ze stosowaniem etrolizumabu lub placebo leku badanego.● Z chwilą sporządzenia niniejszego streszczenia badanie zakończyło się. Nie są gromadzone żadne nowe informacje.

1. Informacje ogólne na temat tego badania

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Wrzodziejące zapalenie jelita grubego to przewlekła choroba, w przebiegu której występuje stan zapalny dolnej części jelit, powodujący powstawanie wrzodów. U osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego często występują biegunki z krwią, skurcze żołądka i nagła konieczność wypróżnienia się. Te bolesne i osłabiające objawy mogą niekorzystnie wpływać na sen, aktywność społeczną i inne codzienne czynności.

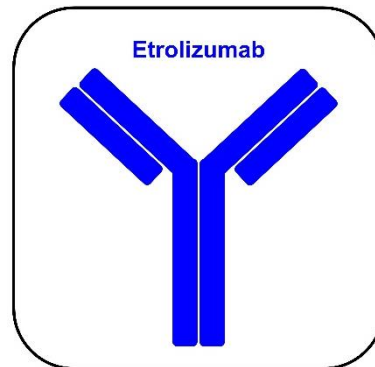
Dostępne są różne rodzaje leków, które pomagają w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego oraz objawów tej choroby. Leki te często nie są skuteczne u wszystkich osób lub nie działają przez długi czas u niektórych osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, dlatego badacze będą analizować nowe leki działające w inny sposób.

W tym badaniu oceniany jest etrolizumab, który działa w organizmie w inny sposób niż aktualnie dostępne leki. Lekarze prowadzący badanie chcieli sprawdzić, czy etrolizumab może łagodzić objawy wrzodziejącego zapalenia jelita grubego. Chcieli także sprawdzić, jak bezpieczne jest stosowanie etrolizumabu.

Co było lekiem badanym?

Lek o nazwie „etrolizumab” był głównym przedmiotem tego badania.

- Wymowa: „et - ro - li - zu - mab”
- Etrolizumab jest rodzajem białka zwanego „przeciwciałem”. Jego działanie polega na wiązaniu się i blokowaniu drugiego białka o nazwie „ β ”. Wymowa: „be - ta sie - dem”
 - Zapobiega to przemieszczaniu się komórek zapalnych do jelit, a także zmniejsza procesy zapalne w jelicie.
- Etrolizumab jest podawany w postaci wstrzyknięć podskórnych.



Etrolizumab porównano z „placebo”

- Wymowa: „pla - ce - bo”
- Placebo wyglądało tak samo jak etrolizumab, ale nie zawierało żadnego prawdziwego leku. Oznacza to, że nie miało żadnego wpływu na organizm.
- Badacze porównali etrolizumab z placebo, aby mogli wykazać, jakie korzyści lub działania niepożądane rzeczywiście są spowodowane lekiem.

Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

Badacze przeprowadzili to badanie mające na celu określenie skuteczności etrolizumabu w porównaniu z placebo (patrz Punkt 4. „Jakie były wyniki tego badania?”).

Chcieli także dowiedzieć się, na ile bezpieczne jest stosowanie etrolizumabu, poprzez sprawdzenie, u ilu osób wystąpiły działania niepożądane podczas przyjmowania poszczególnych leków w trakcie tego badania (patrz Punkt 5. „Jakie były działania niepożądane?”).

Oto główne pytania, na które badacze chcieli uzyskać odpowiedź:

1. Spośród osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego zmniejszyło się nasilenie objawów w tygodniu 10., aczkolwiek po upływie jednego roku leczenia ile osób nadal przejawiało zmniejszone nasilenie stanu zapalnego i objawy?
2. Czy u osób przyjmujących etrolizumab wystąpiły jakiegokolwiek działania niepożądane, a jeśli tak, to jakie one były?

Jakiego rodzaju było to badanie?

Badanie to było badaniem „fazy III”. Oznacza to, że skuteczność i bezpieczeństwo stosowania etrolizumabu oceniano u mniejszej liczby osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego przed tym badaniem (określanym jako badanie „fazy II”). W tym badaniu fazy III większa liczba osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego otrzymywała etrolizumab lub placebo. Pozwoliło to uzyskać informacje na temat działań niepożądanych etrolizumabu oraz sprawdzić, czy etrolizumab obniżał stan zapalny i objawy.

Badanie było „randomizowane”. Oznacza to, że decyzja ta została podjęta w sposób losowy, podobnie jak przy rzucie monetą, czy uczestnicy badania będą otrzymywać etrolizumab, czy placebo. Decydował o tym komputer.

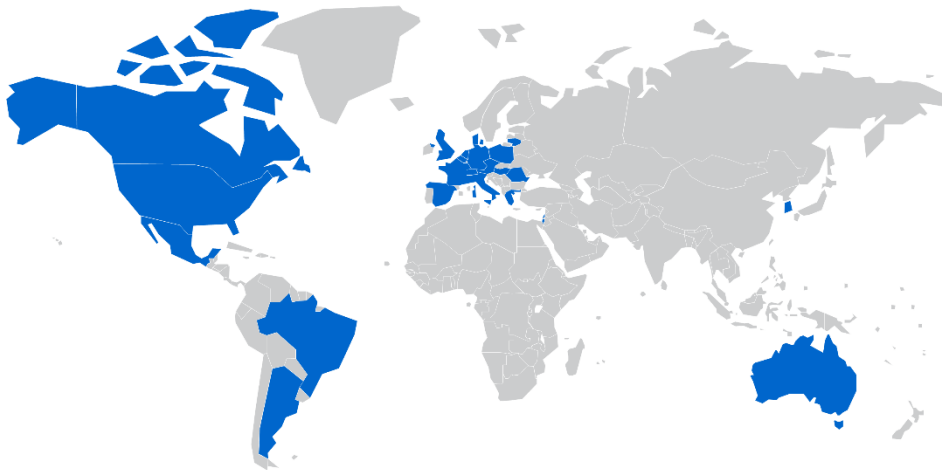
Część 1. badania była trwającym 10 tygodni badaniem „prowadzonym metodą otwartej próby”. Oznacza to, że zarówno osoby biorące udział w badaniu, jak i lekarze prowadzący badanie wiedzieli, jakie leczenie te osoby otrzymywały. Celem tej części badania jest określenie, czy etrolizumab zmniejszył stan zapalny i objawy u osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego. Uczestnicy mogli kontynuować udział w **Części 2.** badania, jeśli etrolizumab zmniejszył stan zapalny i objawy choroby.

Część 2. badania była 52-tygodniowym badaniem prowadzonym metodą „podwójnie ślepej próby”. Oznacza to, że ani osoby uczestniczące w badaniu, ani lekarze prowadzący badanie nie wiedzieli, jakie leczenie otrzymywali uczestnicy. „Zaślepienie” badania jest prowadzone, aby osoba nie wiedziała, jakie leczenie otrzymuje i jakiego oczekiwać wyniku tego leczenia. Celem tej części badania jest stwierdzenie, czy po zakończeniu kolejnego roku leczenia u ludzi nadal występowały stany zapalne i objawy.

Gdzie i kiedy odbyło się badanie?

Badanie rozpoczęło się w sierpniu 2014 r., a zakończyło się w czerwcu 2020 r. Niniejsze streszczenie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

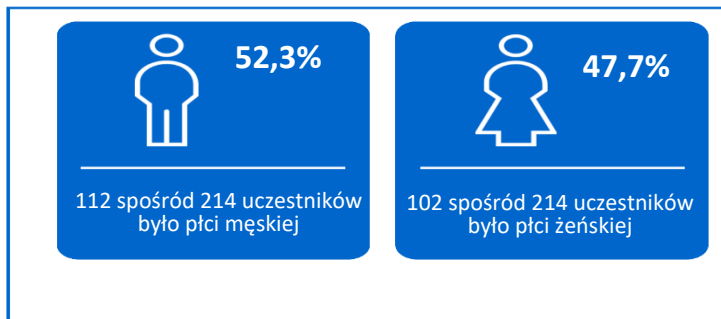
Badanie zostało przeprowadzone w 111 ośrodkach badawczych w 24 krajach w regionie Azji i Pacyfiku, w Europie, Ameryce Północnej i Ameryce Południowej. Na poniższej mapie zaznaczono kraje, w których odbyło się to badanie.



- Argentyna
- Australia
- Brazylia
- Belgia
- Brazylia
- Kanada
- Czechy
- Dania
- Francja
- Niemcy
- Grecja
- Węgry
- Izrael
- Włochy
- Korea Południowa
- Litwa
- Meksyk
- Holandia
- Polska
- Rumunia
- Hiszpania
- Szwajcaria
- Zjednoczone Królestwo
- Stany Zjednoczone

2. Kto wziął udział w tym badaniu?

W tym badaniu 359 osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego brało udział w **Części 1.** oraz 214 osób kontynuowało wzięcie udziału w **Części 2.** Więcej informacji na temat osób biorących udział w **Części 2.** badania zamieszczono poniżej.



Faixa etária: 18 a 77 anos **Zakres wieku:** od 18 do 77 lat

W badaniu **mogły** wziąć udział osoby, jeśli:

- były w wieku od 18 do 80 lat;
- miały rozpoznane wrzodziejące zapalenie jelita grubego na ponad 3 miesiące przed rozpoczęciem udziału w badaniu;
- nieprzyjmowały nigdy inhibitorów czynnika martwicy nowotworu (tzw. „TNF”) (takich jak infliksymab).

W badaniu **nie mogły** wziąć udziału osoby, które:

- miały stwierdzone w wywiadzie pewne problemy żołądkowo-jelitowe, takie jak występujące w przeszłości lub obecnie nieprawidłowe połączenie pomiędzy częściami jelita (zwane to „przetoką”) lub bolesne gromadzenie się ropy (nazywane „ropniami”) w jamie brzusznej, polipach jelita grubego, które wydają się być nowotworowe (dysplazja błony śluzowej jelita grubego) lub zwężenie jelita grubego, a także zakażenia takie jak HIV lub wirus zapalenia wątroby typu B lub C albo gruźlica (aby uniknąć potencjalnych problemów dotyczących bezpieczeństwa).
- przyjmowały wcześniej niektóre leki, takie jak kortykosteroidowe lewatywy lub czopki, stosowały preparaty 5-aminosalicylanowe doodbytniczo lub leczenie anty-TNF (w tym infliksymabem) lub leczenie antyintegrynami (w tym wedolizumabem albo natalizumabem)
- Zabieg chirurgiczny w celu leczenia wrzodziejącego zapalenia jelita grubego albo innych problemów z żołądkiem albo jelit, w tym zabieg chirurgiczny usunięcia części okrężnicy w celu usunięcia raka (resekcja jelita grubego albo kolektomia) albo zabieg chirurgiczny w celu wyprowadzenia części jelita przez ścianę brzucha (ileostomia albo kolostomia).

3. Co się działo w trakcie badania?

Badanie to obejmowało dwie części. W **Części 1.** wszyscy pacjenci otrzymywali etrolizumab. W **Części 2.** uczestnicy byli losowo przypisywani do jednego z dwóch grup leczenia: etrolizumabem lub placebo. Leki stosowane w **Części 2.** zostały wybrane losowo przez komputer. Ludzie otrzymywali leki w ośrodku badawczym.

Część 1.: trwała około 2,5 miesiąca (10 tygodni)

Grupa leczenia to:

- **Grupa otrzymująca etrolizumab (lek badany):** 105 miligramów wstrzykiwanych pod skórę co 4 tygodnie.
 - Każdy (359 osób) otrzymywał etrolizumab.

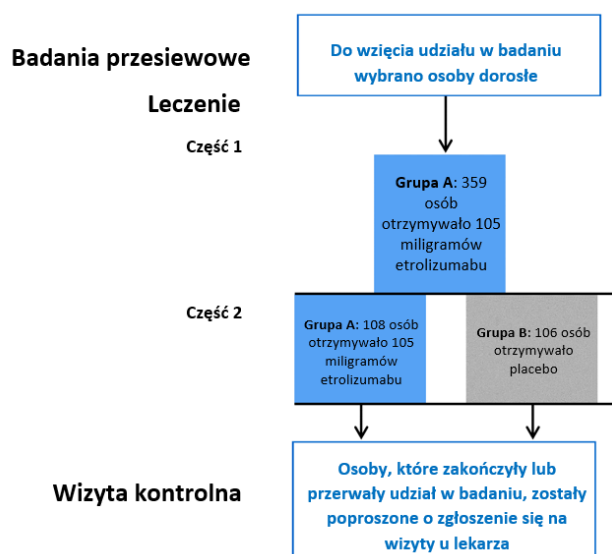
Część 2.: trwała około 12 miesięcy (52 tygodnie)

Tylko osoby, u których występowało zmniejszone zapalenie i objawy do końca **Części 1.** (214 osób) brały udział w badaniu dla **Części 2.**

Grupy leczenia były następujące:

- **Grupa otrzymująca etrolizumab (lek badany):** 105 miligramów wstrzykiwanych pod skórę co 4 tygodnie.
 - 108 osób zostało losowo przydzielonych do tej grupy.
- **Grupa przyjmująca placebo:** wstrzykiwane podskórnie co 4 tygodnie.
 - 106 osób zostało losowo przydzielonych do tej grupy.

Osoby biorące udział w badaniu zgłosiły się do ośrodka badawczego, aby otrzymywać leczenie przez maksymalnie 62 tygodnie. Po zakończeniu badania osoby, które wzięły w nim udział, poproszono o ponowne zgłoszenie się do ośrodka badawczego na kolejne badanie zwane badaniem prowadzonym metodą otwartej próby, w ramach którego w dalszym ciągu otrzymywali etrolizumab lub odbyły wizyty kontrolne w celu sprawdzenia ogólnego stanu zdrowia. Proszę zapoznać się z poniższymi informacjami na temat tego, co wydarzyło się w badaniu.



4. Jakie były wyniki tego badania?

Wśród osób, u których stan zapalny i objawy wrzodziejącego zapalenia jelita grubego zmniejszyły się w 10. tygodniu, ile z nich nadal miało zmniejszony stan zapalny i objawy po kolejnym roku leczenia?

Badacze badali liczbę osób ze zmniejszonym zapaleniem i objawami wrzodziejącego zapalenia jelita grubego pod koniec tygodnia 10., u których również występowały zmniejszone objawy po roku leczenia.

U około 30 spośród 100 osób (30%) przyjmujących etrolizumab występowało mniejsze zapalenie oraz objawy wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, w porównaniu z około 21 osób (21%) przyjmujących placebo po 1 roku leczenia.

Ogólnie, po 1 roku, podobna liczba osób otrzymujących etrolizumab, miała zmniejszone objawy co osoby, które otrzymywały placebo.

5. Jakie były działania niepożądane?

Działania niepożądane (zwane również reakcjami niepożądanymi) to niepożądane problemy natury medycznej (takie jak ból głowy), które występują w trakcie badania.

- Poniżej opisano tylko działania niepożądane, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane ze stosowaniem leczenia używanego w badaniu.

Poniżej wymieniono ciężkie i częste działania niepożądane. Ponieważ LAUREL analizowało jedynie to, ile osób wciąż doświadczało zmniejszenia zapalenia i objawów po 1 roku otrzymywania leczenia, poniżej wymieniono jedynie skutki uboczne, które wystąpiły u osób, które brały udział w Części 2. badania.

Ciężkie działania niepożądane, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane z leczeniem

Działanie niepożądane uznaje się za ciężkie, jeżeli zagraża życiu, wymaga hospitalizacji lub powoduje długotrwałe problemy.

Żadna osoba przyjmująca etrolizumab w obu częściach badania nie doświadczyła ciężkiego działania niepożądanego, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane ze stosowaniem leku badanego. W trakcie badania u jednej osoby, która otrzymywała etrolizumab w Części 1. i placebo w Części 2., wystąpiło ciężkie działanie niepożądane, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane z przyjmowaniem leku badanego. To działanie niepożądane to: ropień odbytnicy.

W trakcie badania nie odnotowano osób, które zdecydowały się przerwać przyjmowanie leku z powodu wystąpienia powiązanych działań niepożądanych.

Najczęstsze działania niepożądane, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane z leczeniem

U około 9 na 100 osób (9%) przyjmujących etrolizumab w obu częściach badania wystąpiło działanie niepożądane, które lekarz prowadzący badanie uznał za związane z przyjmowaniem leku badanego, w porównaniu z około 15 na 100 osób (15%) przyjmujących etrolizumab w Części 1. i placebo w Części 2. badania.

U osób przyjmujących etrolizumab w obu częściach badania najczęstsze działania niepożądane uważane przez lekarza prowadzącego badanie za związane z leczeniem to przypadki trądziku. Najczęstsze działania niepożądane dla osób przyjmujących etrolizumab w Części 1. i placebo w Części 2. to zaczerwienienie w miejscu wstrzyknięcia, zmęczenie, ból i opryszczka ustna.

Inne działania niepożądane

Można znaleźć informacje o innych działaniach niepożądanych (niewymienionych powyżej, takich jak działania niepożądane, które lekarze nie uznali za związane z etrolizumabem) na witrynach internetowych wymienionych na końcu niniejszego streszczenia (patrz punkt 8. „Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?”).

6. W jaki sposób to badanie pomogło badaniom naukowym?

Przedstawione tutaj informacje pochodzą z pojedynczego badania, w którym udział wzięło 359 osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego. Wyniki te pomogą badaczom dowiedzieć się więcej na temat wrzodziejącego zapalenia jelita grubego oraz etrolizumabu.

Żadne badanie nie jest w stanie dostarczyć nam wszystkich informacji na temat zagrożeń i korzyści związanych z lekiem. Uzyskanie wszystkich niezbędnych informacji wymaga pracy wielu osób w różnych badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od innych badań dotyczących tego samego leku.

Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji na podstawie tego jednego streszczenia — zawsze należy porozmawiać ze swoim lekarzem przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących swojego leczenia.

7. Czy planowane są inne badania?

W momencie sporządzania niniejszego podsumowania (listopad 2021) to badanie zostało zakończone i nie są już gromadzone żadne informacje. Głównym wynikiem tego badania było to, że po 1 roku stosowania leczenia liczba osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, u których nastąpiło zmniejszenie stanu zapalnego i objawów wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, była ogólnie podobna u osób przyjmujących etrolizumab (30 na 100) i osób przyjmujących placebo (21 na 100). U jednej osoby, która otrzymywała etrolizumab, wystąpiły poważne działania niepożądane (ropień odbytnicy), które lekarz prowadzący badanie uznał za związane ze stosowaniem badanego leku.

Odbyły się inne badania fazy III mające na celu ocenę bezpieczeństwa stosowania i wpływu etrolizumabu u osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, którzy nie otrzymywali inhibitorów TNF (takich jak infliksymab).

Obecnie badacze badają etrolizumab u osób dorosłych z chorobą Leśniowskiego-Crohna.

8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

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

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02165215>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2013-004280-31/results>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/ulcerative-colitis/a-study-of-the-efficacy-and-safety-of-etrolizumab-treatment-in-m.html>.

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

W razie dalszych pytań po przeczytaniu niniejszego streszczenia:

- Proszę odwiedzić platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy: <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/ulcerative-colitis/a-study-of-the-efficacy-and-safety-of-etrolizumab-treatment-in-m.html>
- Proszę skontaktować się z przedstawicielem miejscowego biura Roche.

Jeżeli brał Pan / brała Pani udział w tym badaniu i ma jakiegokolwiek pytania dotyczące wyników:

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

W razie pytań dotyczących własnego leczenia:

- proszę porozmawiać z lekarzem kierującym Pana/Pani leczeniem.

Kto zorganizował i sfinansował to badanie?

Badanie to zostało zorganizowane i sfinansowane przez spółkę F. Hoffmann-La Roche Ltd. z siedzibą w Bazylei w Szwajcarii.

Pełny tytuł badania oraz inne informacje identyfikacyjne

Pełny tytuł tego badania to: „Etolizumab jako sposób leczenia podtrzymującego u pacjentów z postacią umiarkowaną do ciężkiej aktywnego wrzodziejącego zapalenia jelita grubego”.

Badanie to nosi nazwę „LAUREL”.

- Numer protokołu tego badania to: GA29102.
- Identyfikator ClinicalTrials.gov dla tego badania to: NCT02165215.
- Numer EudraCT dla tego badania to: 2013-004280-31.