

## Podsumowanie wyników badania klinicznego

### Badanie określane akronimem SCarlet RoAD, w którym oceniano, na ile gantenerumab jest bezpieczny u osób z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium i czy działa w leczeniu tej choroby

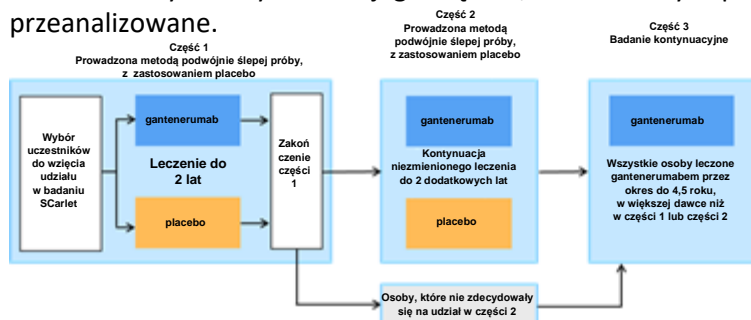
Pełny tytuł badania podano na końcu tego dokumentu.

#### Informacje o podsumowaniu

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

- opinii publicznej oraz
- osób, które wzięły udział w badaniu (uczestników badania)

Badanie SCarlet RoAD, które było prowadzone w 3 częściach, rozpoczęto w listopadzie 2010 r. (część 1) i zakończono we wrześniu 2020 r. (część 3). Niniejsze podsumowanie zostało sporządzone po zakończeniu badania i przedstawiono w nim ostateczne wyniki uzyskane w jego części 3, które zostały w pełni przeanalizowane.



W tym badaniu oceniano lek gantenerumab w leczeniu choroby mózgu, która wpływa na pamięć oraz inne funkcje mózgu – zwanej „chorobą Alzheimera”. Pierwotne badanie (część 1 i część 2) było prowadzone metodą podwójnie ślepej próby, co oznacza, że ani jego uczestnicy, ani prowadzący je lekarze nie wiedzieli, czy poszczególni uczestnicy przyjmują gantenerumab, czy placebo. Pierwotne badanie (część 1 i część 2) zostało przerwane przedwcześnie – w grudniu 2014 r. Przerwano je dlatego, że w zaplanowanej analizie skuteczności leku w trakcie badania (przeprowadzonej pod kątem bezskuteczności – ang. *futility*) wykazano, że w ocenianych niskich dawkach gantenerumab nie działał na tyle dobrze w porównaniu z placebo, jak oczekiwano. Badanie zostało następnie zmienione na inny typ badania, w którym oceniano większe dawki gantenerumabu – badanie prowadzone metodą otwartej próby (część 3).

Nie jesteśmy w stanie dowiedzieć się wszystkiego o zagrożeniach i korzyściach związanych ze stosowaniem danego leku na podstawie jednego badania. Dopiero udział wielu pacjentów w wielu badaniach pozwala nam uzyskać potrzebne informacje.

#### Spis treści podsumowania

1. Ogólne informacje o badaniu
2. Kto uczestniczył w badaniu?
3. Co działo się w trakcie badania?
4. Jakie są wyniki badania?
5. Jakie wystąpiły działania niepożądane?
6. W jaki sposób to badanie przyczyniło się do poszerzenia wiedzy?
7. Czy planuje się inne badania?
8. Gdzie można znaleźć dodatkowe informacje?

#### Słowniczek

- Badanie prowadzone metodą otwartej próby = badanie, w którym zarówno prowadzący je lekarze, jak i jego uczestnicy wiedzą, który rodzaj leczenia jest stosowany u danego uczestnika.
- ARIA-E = gromadzenie się płynów w mózgu obserwowane

Wyniki omawianego badania mogą różnić się od wyników uzyskanych w innych badaniach oceniających ten sam lek.

**Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji na podstawie tego jednego podsumowania – przed podjęciem jakiegokolwiek decyzji dotyczącej leczenia należy zawsze porozmawiać z lekarzem.**

w badaniach obrazowych, czemu mogą towarzyszyć działania niepożądane lub nie

- ARIA-H = niewielkie krwawienia w mózgu stwierdzone z użyciem technik medycznych badań obrazowych, którym mogą towarzyszyć działania niepożądane lub nie

### **Osobom uczestniczącym w tym badaniu należą się podziękowania.**

Uczestnicy, którzy wzięli udział w tym badaniu, a także ich rodziny i opiekunowie, pomogli badaczom w uzyskaniu odpowiedzi na ważne pytania dotyczące choroby Alzheimerera i badanego leku – gantenerumabu, na przykład czy gantenerumab jest bezpieczny w leczeniu osób z chorobą Alzheimerera.

### **Najważniejsze informacje o badaniu**

- Badanie (nazwane badaniem SCarlet RoAD) składało się z 3 części. Część 1 i część 2 badania były prowadzone metodą podwójnie ślepej próby i miały na celu porównanie nowego ocenianego leku zwanego gantenerumabem z placebo u uczestników z wczesnym stadium choroby Alzheimerera. Placebo wygląda tak samo jak lek, ale nie zawiera prawdziwej substancji leczniczej. Oznacza to, że z medycznego punktu widzenia nie wywiera żadnego wpływu na organizm. Placebo stosuje się po to, aby uczestnicy i lekarz nie wiedzieli, czy uczestnicy otrzymują prawdziwy lek, czy nie. Wynika to z tego, że wiedza o tym, który lek jest stosowany, może czasem mieć wpływ na wyniki badania.
- Część 3 badania była badaniem kontynuacyjnym prowadzonym metodą otwartej próby, w ramach którego uczestnikom (z części 1 lub części 2) podawano gantenerumab w większych dawkach niż oceniane wcześniej w ramach części 1 i części 2.
- W części 1 badania SCarlet RoAD wzięło udział 797 uczestników, którzy otrzymywali albo gantenerumab, albo placebo. Uczestnikom, którzy ukończyli część 1, zaoferowano możliwość wydłużenia okresu otrzymywania gantenerumabu lub placebo o maksymalnie 2 dodatkowe lata (część 2), przy czym 264 uczestników włączono do części 2. Ogółem 154 uczestników w wieku od 52 do 84 lat, z 24 krajów, włączono następnie do części 3 badania SCarlet RoAD.
- Zaplanowaną analizę danych (pod kątem braku skuteczności) z części 1 i 2 wykonano w przebiegu badania, przed jego zakończeniem. Badanie SCarlet RoAD zostało przedwcześnie przerwane, ponieważ w tej analizie okresu prowadzonego metodą podwójnie ślepej próby (część 1 i część 2) wykazano, że gantenerumab jest bezpieczny (działania niepożądane występujące u uczestników przyjmujących gantenerumab były podobne do występujących u uczestników przyjmujących placebo), jednak również dowiedziono, że istnieje niskie prawdopodobieństwo jego skuteczności (jest mało prawdopodobne, aby pomógł osobom z chorobą Alzheimerera we wczesnym stadium).

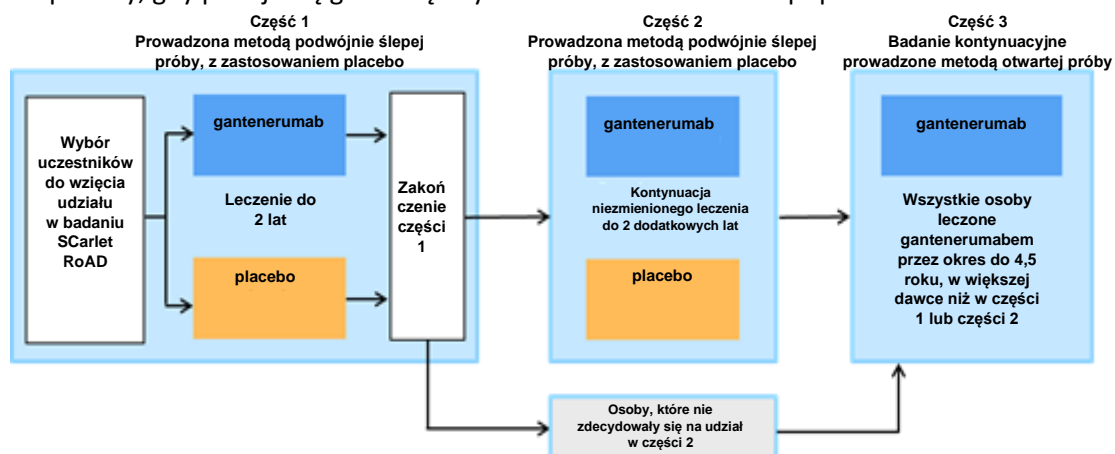
- Dodatkowe analizy sugerowały, że mogą być konieczne większe dawki gantenerumabu, aby lek wywarł działanie na osoby z chorobą Alzheimera, w związku z czym badanie przekształcono w prowadzone metodą otwartej próby badanie kontynuacyjne (część 3), w ramach którego uczestników z części 1 lub części 2 można było leczyć gantenerumabem w większych dawkach.
- Placebo było stosowane w części 1 i 2 badania u 49 ze 154 uczestników włączonych do części 3, a gantenerumab – u 105.
- W części 3 badania:
  - Leczenie większymi dawkami gantenerumabu było zasadniczo dobrze tolerowane.
  - U łącznie 60% uczestników, którzy otrzymywali gantenerumab, wystąpiło co najmniej 1 działanie niepożądane związane z leczeniem. Większość działań niepożądanych była dobrze tolerowana i łatwa w leczeniu i ich skutki u uczestników w pełni ustąpiły.
  - U uczestników leczonych większymi dawkami gantenerumabu stwierdzono z czasem zmniejszenie stężenia w mózgu potencjalnie szkodliwego białka, które wykazuje związek z chorobą Alzheimera, zwanego amyloidem.

## 1. Ogólne informacje o badaniu

### W jakim celu przeprowadzono to badanie?

W badaniach wykazano, że u osób z chorobą Alzheimera stwierdza się nieprawidłowe stężenie białka zwanego amyloidem, które gromadzi się w mózgu, tworząc niewielkie skupiska (oligomery) i większe grudki (blaszki amyloidowe).

To badanie zostało początkowo przeprowadzone, aby sprawdzić, czy nowy lek zwany gantenerumabem jest skuteczny pod względem spowalniania odkładania się amyloidu w mózgu i na ile podczas jego stosowania dochodzi do progresji objawów (część 1 i część 2). W części 3 lekarze prowadzący badanie chcieli się upewnić, że gantenerumab dalej jest bezpieczny, gdy podaje się go w większych dawkach niż oceniane poprzednio.



Część 1 i część 2 badania były prowadzone metodą podwójnie ślepej próby, co oznacza, że ani osoby uczestniczące w badaniu, ani prowadzący je lekarze nie wiedzieli, które z badanych leków były stosowane u poszczególnych pacjentów. Placebo wygląda tak samo jak lek, ale nie zawiera prawdziwej substancji leczniczej. Część 3 była badaniem kontynuacyjnym prowadzonym metodą otwartej próby, co oznacza, że osoby uczestniczące w części 1 lub części 2 pierwotnego badania kontynuowały przyjmowanie badanego leku. W części 3 zarówno uczestnicy badania, jak i prowadzący je lekarze wiedzieli, że wszyscy uczestnicy przyjmują gantenerumab.

## Jaki lek był badany?

---

W badaniu oceniano lek o nazwie gantenerumab. Badanie prowadzono w 3 częściach. W części 1 i części 2 badania gantenerumab był porównywany z placebo, a w części 3 oceniano wyłącznie gantenerumab podawany w większych dawkach. Lek był podawany we wstrzyknięciach podskórnych, co oznacza, że był dostarczany w zastrzyku tuż pod skórę.

- Gantenerumab jest rodzajem przeciwciała monoklonalnego, czyli lekiem pomagającym układowi immunologicznemu w swoistym rozpoznawaniu szkodliwego białka – amyloidu – które jest związane z chorobą Alzheimera.
- Placebo podawane w części 1 i części 2 wyglądało tak samo jak gantenerumab, ale nie zawierało prawdziwego leku. Oznacza to, że z medycznego punktu widzenia nie wywierało żadnego wpływu na organizm. Gantenerumab był porównywany z placebo, aby można było wykazać, które korzyści i działania niepożądane można tak naprawdę przypisać temu leкови.

## Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

---

- Wcześniejsze badania wskazywały na to, że gantenerumab jest skuteczniejszy w leczeniu osób z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium niż u osób, u których jest ona bardziej zaawansowana.
- W mniejszych dawkach ocenianych w części 1 i części 2 gantenerumab nie działał tak dobrze, jak oczekiwano, w porównaniu z placebo, wobec czego w części 3 lekarze prowadzący badanie chcieli uzyskać następujące informacje zebrane w dłuższym okresie:
  - na ile gantenerumab stosowany długotrwale w większej dawce jest bezpieczny
  - jak organizm ludzki radzi sobie z gantenerumabem stosowanym przez dłuższy czas

### Główne pytania, na które chcieli odpowiedzieć badacze, to:

1. W części 3: jakie są działania niepożądane gantenerumabu podawanego uczestnikom z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium co miesiąc przez okres do 4,5 roku (do upływu 236 tygodni)?
2. W części 3: jak gantenerumab wpływa na objawy choroby Alzheimera i amyloid w mózgu, gdy podaje się go co miesiąc przez okres do 4,5 roku (do upływu 236 tygodni)?

## Jaki to był rodzaj badania?

---

Było to badanie „fazy III”. Oznacza to, gantenerumab był już oceniany w przeszłości w innych badaniach z udziałem mniejszej liczby osób z chorobą Alzheimera przed rozpoczęciem tego badania.

W części 1 i części 2 badania większa liczba uczestników z chorobą Alzheimera przyjmowała gantenerumab, aby dowiedzieć się, jakie są jego działania niepożądane i czy wywiera on działanie poprawiające objawy choroby Alzheimera. Część 1 i część 2 przerwano przedwcześnie, ponieważ w analizie wykazano, że istnieje niskie prawdopodobieństwo, aby gantenerumab okazał się skuteczny (jest mało prawdopodobne, aby pomógł osobom z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium). Część 3 badania miała charakter „badania kontynuacyjnego prowadzonego metodą otwartej próby”. Oznacza to, że uczestnicy w części 1 lub części 2 badania fazy III mogli dalej przyjmować gantenerumab, w zwiększonych dawkach.

## Kiedy i gdzie prowadzono omawiane badanie?

Badanie SCarlet RoAD rozpoczęto w listopadzie 2010 r. i zakończono w 2020 r.

Część 1 i część 2 prowadzono w około 128 ośrodkach w 24 krajach Azji, Europy i obu Ameryk. Spośród pierwotnych 128 ośrodków w części 3 wzięło udział 53.

Na poniższej mapie zaznaczono kraje, w których prowadzono którąkolwiek z części omawianego badania. Były to następujące kraje:

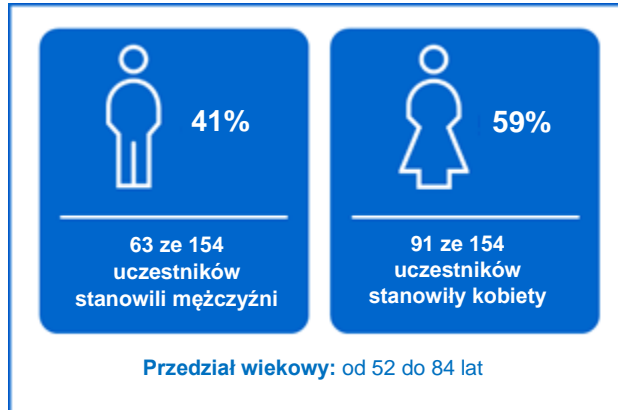


- Argentyna
- Australia
- Belgia
- Brazylia
- Kanada
- Chile
- Czechy
- Dania
- Finlandia
- Francja
- Niemcy
- Włochy
- Meksyk
- Holandia
- Polska
- Portugalia
- Federacja Rosyjska
- Hiszpania
- Szwecja
- Szwajcaria
- Korea Południowa
- Turcja
- Wielka Brytania
- USA

## 2. Kto wziął udział w badaniu?

W prowadzonej metodą podwójnie ślepej próby części 1 badania 797 uczestników z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium było leczonych albo gantenerumabem, albo placebo. Zastosowanie metody podwójnie ślepej próby oznacza, że ani osoby uczestniczące w badaniu, ani prowadzący je lekarze nie wiedzieli, które z badanych leków były stosowane u poszczególnych uczestników. Placebo wyglądało tak samo jak gantenerumab, ale nie zawierało prawdziwego leku. Oznacza to, że z medycznego punktu widzenia nie wywierało żadnego wpływu na organizm. Uczestnicy mieli opcjonalną możliwość kontynuowania leczenia prowadzonego metodą podwójnie ślepej próby w ramach części 2.

Łącznie 154 dorosłych z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium, którzy brali udział w części 1 lub części 2, zdecydowało się na wzięcie udziału w części 3 badania. Część 3 badania miała charakter „badania kontynuacyjnego prowadzonego metodą otwartej próby”. Ponieważ było to badanie „prowadzone metodą otwartej próby”, zarówno uczestnicy badania, jak i prowadzący je lekarze wiedzieli, że wszyscy uczestnicy przyjmują gantenerumab. Uczestnicy części 3 badania byli w wieku od 52 do 84 lat. W części 3, 105 z jej uczestników (68%) otrzymywało wcześniej, w trakcie części 1 lub części 2, gantenerumab, a 49 (32%) – placebo.



Do udziału w badaniu kontynuacyjnym prowadzonym metodą otwartej próby (część 3) dopuszczono uczestników, którzy spełniali następujące warunki:

- Chorowali na chorobę Alzheimera we wczesnym stadium i byli w wieku od 50 do 85 lat na początku części 1.
- Otrzymywali leczenie w trakcie części 1 lub części 2 badania SCarlet RoAD przed zaplanowaną analizą pod kątem bezskuteczności przeprowadzoną w przebiegu badania.
- Odbyli co najmniej jedną wizytę kontrolną po wzięciu udziału w części 1 lub części 2.

### 3. Co działo się w trakcie badania?

#### Badanie SCarlet RoAD – część 1

W trakcie części 1 badania SCarlet RoAD uczestnicy zostali podzieleni losowo na 2 grupy i podawano im albo gantenerumab, albo placebo. Ponieważ było to badanie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby, żadna z osób biorących w nim udział nie wiedziała, do której grupy została przydzielona. Miało to na celu zapewnienie, aby osoby uczestniczące w badaniu i biorący w nim udział lekarze nie mogli zafałszować wyników badania.

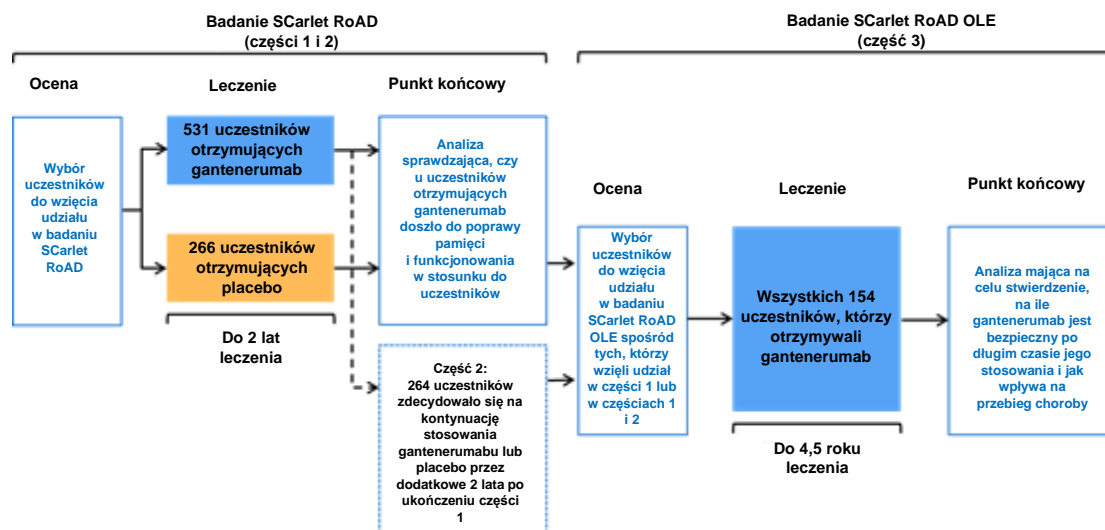
#### Badanie SCarlet RoAD – część 2

Uczestnikom z części 1 badania zapewniono możliwość dobrowolnego przystąpienia do części 2 badania, w której kontynuowaliby leczenie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby przez dodatkowe 2 lata. Udział w części 2 badania był nieobowiązkowy, przy czym uczestnicy i lekarze prowadzący badanie nie wiedzieli, kto otrzymywał gantenerumab, a kto otrzymywał placebo.

#### Prowadzone metodą otwartej próby (ang. *Open-Label Extension, OLE*) badanie SCarlet RoAD – część 3

Uczestnicy biorący uprzednio udział w części 1 lub części 2 badania SCarlet RoAD zostali zaproszeni do udziału w części 3 badania, przy czym każdej uczestniczącej w niej osobie podawano gantenerumab. Badanie to przeprowadzono w celu sprawdzenia, czy

gantenerumab będzie dalej bezpieczny po dłuższym czasie jego stosowania w większej dawce, a także oceny, jak lek wpłynie na przebieg choroby Alzheimera, gdy będzie podawany w większej dawce niż w części 1 i części 2 pierwotnego badania. Dawkę gantenerumabu podawaną uczestnikom stopniowo zwiększano aż do uzyskania większych dawek, które lekarze prowadzący badanie chcieli ocenić w ramach tego badania. Część 3 badania była prowadzona metodą otwartej próby, co oznacza, że zarówno uczestnicy, jak i lekarze zaangażowani w realizację badania wiedzieli, że wszyscy uczestnicy otrzymywali w ramach badania gantenerumab.



OLE oznacza badanie kontynuacyjne prowadzone metodą otwartej próby. Uczestnicy w Kanadzie i Rosji mogli wziąć udział w części 3 tylko przez okres do 3 lat.

## 4. Jakie są wyniki badania?

**Pytanie 1:** W części 3: jakie są działania niepożądane gantenerumabu podawanego uczestnikom z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium co miesiąc przez okres do 4,5 roku (do upływu 236 tygodni)?

W badaniu SCarlet RoAD oceniano bezpieczeństwo gantenerumabu na podstawie dokumentowania liczby działań niepożądanych lub „zdarzeń niepożądanych”, a w szczególności liczby ciężkich działań niepożądanych, które występowały u uczestników w trakcie badania.

„Działania uboczne”, czyli „działania niepożądane”, to niechciane problemy medyczne (np. bóle głowy), jakie mogą pojawić się u uczestników otrzymujących badane leki lub placebo.

„Ciężkie działania niepożądane” to działania niepożądane, które mają charakter zagrażający życiu lub wymagają natychmiastowego leczenia lub hospitalizacji.

Działania niepożądane i ciężkie działania niepożądane nie muszą być związane ze stosowaniem określonego leczenia.

W niektórych przypadkach działania niepożądane mogą być związane z badanym leczeniem. Są to te działania niepożądane, które wystąpią w trakcie okresu leczenia i które w opinii lekarzy mogą się wiązać z leczeniem zastosowanym u danej osoby.

W badaniu wykazano, że gantenerumab był dobrze tolerowany w ocenianych dawkach. Wszystkie rodzaje działań niepożądanych zgłoszonych w trakcie tego badania były podobne do opisywanych podczas innych badań oceniających gantenerumab.

Większość działań niepożądanych miała nasilenie łagodne lub umiarkowane (były to np. bóle lub zawroty głowy), co oznacza, że w razie potrzeby łatwo było je wyleczyć i ustąpiły u uczestników.

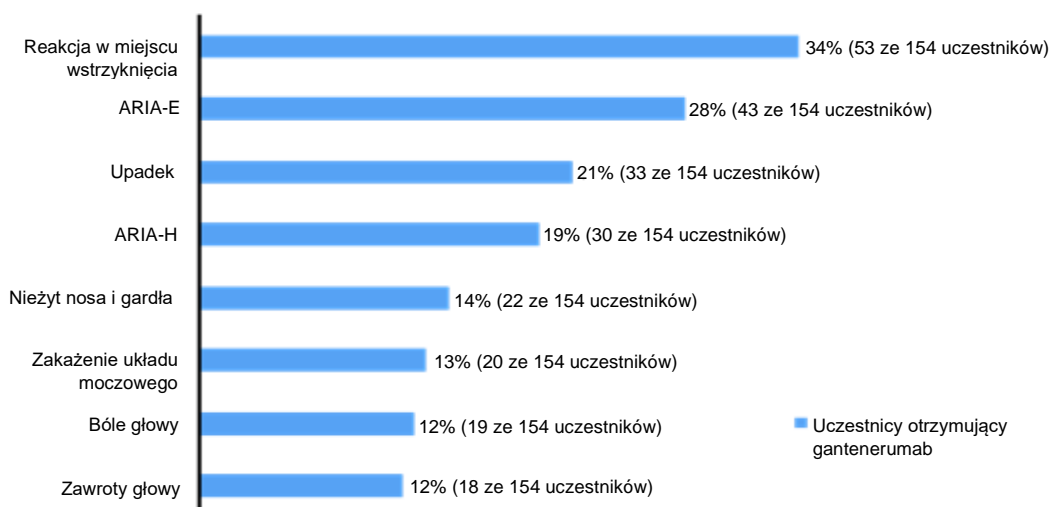
Ogółem spośród 154 uczestników biorących udział w części 3 u 146 (95%) osób, które otrzymywały gantenerumab, wystąpiło co najmniej 1 działanie niepożądane (zob. tabelę i wykres poniżej, w których podano liczby i rodzaje działań niepożądanych oraz wskazano najczęstsze działania niepożądane, które wystąpiły u więcej niż 10% uczestników omawianego badania). U 146 uczestników, którzy otrzymywali gantenerumab, wystąpiło łącznie 1750 działań niepożądanych. Działania niepożądane zgłaszane w trakcie części 3 były podobne u uczestników, którzy wcześniej otrzymywali gantenerumab lub placebo (w części 1 lub części 2).

#### Liczba uczestników, u których wystąpiły działania niepożądane w trakcie tego badania

	Uczestnicy, którzy otrzymywali gantenerumab w części OLE	U 49 uczestników, którzy otrzymywali placebo w części 1 lub części 2	U 105 uczestników, którzy otrzymywali gantenerumab w części 1 lub części 2
Co najmniej 1 działanie niepożądane	95% (146 ze 154)	94% (46 z 49)	95% (100 ze 105)
Ciężkie działania niepożądane	30% (46 ze 154)	37% (18 z 49)	27% (28 ze 105)
Działania niepożądane uznane za związane z badanym leczeniem przez lekarzy prowadzących badanie	60% (92 ze 154)	57% (28 z 49)	61% (64 ze 105)



### Najczęstsze działania niepożądane w tym badaniu (zgłoszone u więcej niż 10% uczestników)



Reakcja w miejscu wstrzyknięcia to reakcja w okolicy, w której lek jest wstrzykiwany pod skórę. Może obejmować zaczerwienienie, wysypkę lub obrzęk w pobliżu tego miejsca.

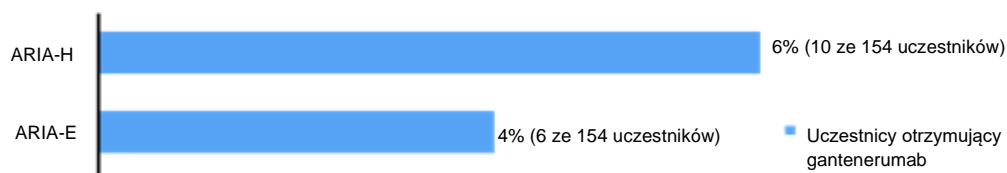
Nieprawidłowości obrazowania związane z amyloidem (ARIA) to grupa działań niepożądanych, które niekiedy występują u uczestników otrzymujących leki podobne do gantenerumabu. Są to nieprawidłowości widoczne w mózgu w badaniach obrazowych wykonywanych metodą rezonansu magnetycznego (RM). Dwa rodzaje ARIA to ARIA-E, czyli gromadzenie się płynów w mózgu, i ARIA-H, czyli niewielkie krwawienia w mózgu. W tym badaniu ARIA-E nie zawsze powodowały działania niepożądane. Gdy występowały działania niepożądane typu ARIA-E, miały one nasilenie nieciężkie.

„Nieżyt nosa i gardła” to obrzęk w kanałach nosowych i w obrębie gardła – zwany powszechnie „przeziębieniem”.

„Zakażenie układu moczowego” określane skrótem ZUM to zakażenie, które obejmuje nerki, pęcherz moczowy lub przewody, którymi z organizmu wydalany jest mocz.

U ogółem 92 uczestników (60%) otrzymujących gantenerumab wystąpiły działania niepożądane, które uznano za związane z badanym leczeniem (na poniższym wykresie przedstawiono najczęstsze działania niepożądane związane z przerwaniem badanego leczenia).

### Działania niepożądane, które spowodowały przerwanie badanego leczenia przez więcej niż 1 uczestnika



Ogółem u 29 uczestników (19%) otrzymujących gantenerumab wystąpiły łącznie 42 działania niepożądane, które doprowadziły do przerwania przez nich leczenia. Jedynymi działaniami niepożądanymi, które spowodowały przerwanie leczenia przez więcej niż 1 osobę, były ARIA-E i ARIA-H. U 10 uczestników obserwowano ARIA-H i u 6 uczestników obserwowano ARIA-E.

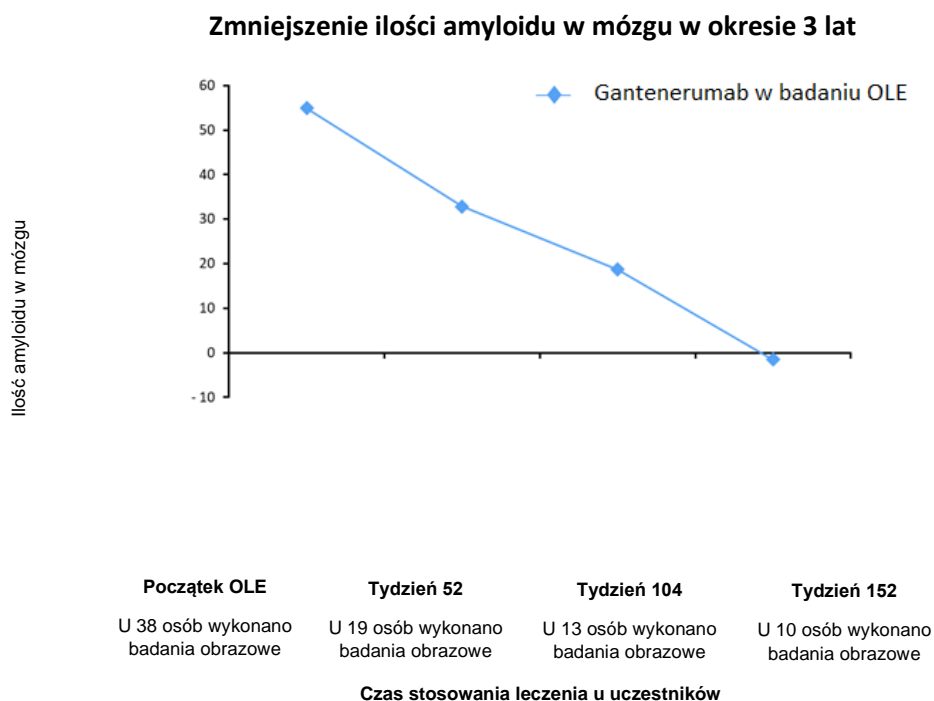
U 4 spośród tych uczestników ARIA-H i ARIA-E wystąpiły równocześnie. Uczestnicy ze zbyt dużą liczbą ARIA-H w ciągu 1 roku musieli przerwać leczenie zgodnie z wytycznymi dotyczącymi prowadzenia badania.

Ogółem 4 uczestników zmarło w trakcie badania. Żaden ze zgonów, które wystąpiły, nie został uznany przez lekarzy prowadzących badanie za spowodowany przez leczenie badanym lekiem.

## **Pytanie 2: W części 3: jak gantenerumab wpływa na objawy choroby Alzheimerera i amyloid w mózgu, gdy podaje się go co miesiąc przez okres do 4,5 roku (do upływu 236 tygodni)?**

Lekarze prowadzący badanie analizowali wyniki szeregu różnych badań diagnostycznych, aby zmierzyć zmiany objawów u uczestników badania w okresie udziału w nim. W okresie 3 lat badania u uczestników doszło do pogorszenia pamięci i zdolności do rozumienia informacji. Jednak ponieważ w trakcie części 3 nie było grupy otrzymującej placebo i nie każda osoba, która uczestniczyła w części 1 i części 2 badania kontynuowała je w ramach części 3, nie wiemy, czy gantenerumab wywarł wpływ na zmiany zdolności do rozumienia informacji.

Niewielka liczba uczestników z części 3 badania wzięła dobrowolnie udział w badaniu dodatkowym polegającym na wykonywaniu badań obrazowych oceniających zmiany ilości amyloidu w mózgu z czasem. Ilość amyloidu w mózgu uczestników badania zmniejszała się z czasem, co może być korzystne dla niektórych osób. Ilości tego białka pozostałe po upływie 104 tygodni udziału w części 3 były podobne do obserwowanych u osób bez choroby Alzheimerera.



W tym punkcie przedstawiono wyłącznie główne wyniki badania. Dane dotyczące wszystkich innych wyników można znaleźć na stronach internetowych podanych na końcu tego podsumowania (patrz punkt 8).

## 5. Jakie wystąpiły działania niepożądane?

Działania niepożądane to problemy zdrowotne (takie jak zawroty głowy), które mogą się pojawić w czasie badania.

- Są one opisane w niniejszym podsumowaniu, ponieważ lekarz prowadzący badanie uważa, że wiązały się one z zastosowanym w badaniu leczeniem.
- Nie wszystkie działania niepożądane wystąpiły u wszystkich uczestników badania.
- Działania niepożądane mogą mieć nasilenie od łagodnego do bardzo ciężkiego i mogą się różnić u poszczególnych osób.
- Należy pamiętać, że wymienione tu działania niepożądane pochodzą tylko z jednego badania. Z tego względu przedstawione tu działania niepożądane mogą się różnić od działań niepożądanych obserwowanych w innych badaniach.
- Ciężkie i częste działania niepożądane uznane za związane z leczeniem gantenerumabem przez lekarza prowadzącego badanie wymieniono w kolejnych punktach.

### Ciężkie działania niepożądane

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

W trakcie części 3 badania u 6 ze 154 uczestników (4%) wystąpiło co najmniej jedno ciężkie działanie niepożądane, które było związane z leczeniem gantenerumabem według lekarza prowadzącego badanie. Były to:

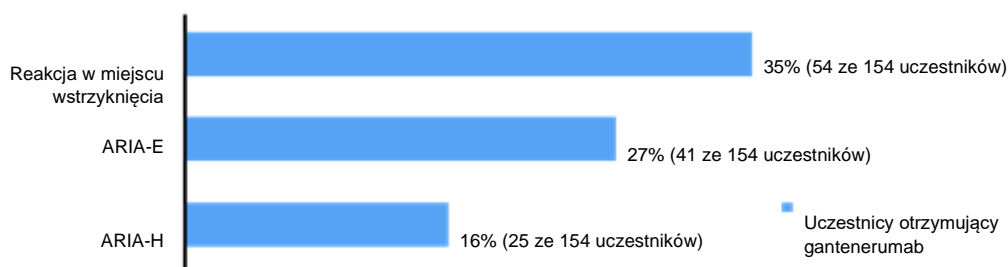
- 1 osoba z ARIA-E (gromadzeniem się płynów w mózgu) i padaczką (zaburzeniem drgawkowym)
- 1 osoba z ARIA-E i ze stanem splątania (gromadzeniem się płynów w mózgu z towarzyszącą dezorientacją)
- 1 osoba z krwotokiem mózgowym (krwawieniem w mózgu)
- 1 osoba z krwiakiem mózgowym (zebraniem się krwi w obrębie czaszki)
- 1 osoba z uogólnionym toniczno-klonicznym napadem drgawkowym (napadem ze sztywnością, drganiem lub skurczami mięśni)
- 1 osoba z padaczką (zaburzeniem drgawkowym)

Ogółem 4 uczestników zmarło w trakcie badania. Żaden ze zgonów, które wystąpiły, nie został uznany przez lekarzy prowadzących badanie za spowodowany przez leczenie badany lekiem.

### Najczęstsze działania niepożądane

W trakcie części 3 badania u około 6 na każdych 10 uczestników (60%) wystąpiło działanie niepożądane, które według lekarza prowadzącego badanie było związane z gantenerumabem. Najczęstsze działania niepożądane przedstawiono na poniższej ilustracji.

### Najczęstsze działania niepożądane związane z leczeniem gantenerumabem



### Inne działania niepożądane

Informacje dotyczące innych działań niepożądanych (niewymienionych w punktach powyżej) można znaleźć na stronach internetowych podanych na końcu tego dokumentu (patrz punkt 8).

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

Informacje przedstawione w tym dokumencie pochodzą z prowadzonego metodą otwartej próby przedłużenia pojedynczego badania z udziałem 154 uczestników z chorobą Alzheimera. Zaprezentowane wyniki pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat choroby Alzheimera i gantenerumabu. W badaniu wykazano, że większe dawki gantenerumabu są zarówno bezpieczne, jak i dobrze tolerowane przez uczestników z chorobą Alzheimera.

Nie jesteśmy w stanie dowiedzieć się wszystkiego o zagrożeniach i korzyściach związanych ze stosowaniem danego leku na podstawie jednego badania. Dopiero udział wielu pacjentów w wielu badaniach pozwala nam uzyskać 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 na podstawie tego jednego podsumowania – przed podjęciem jakiegokolwiek decyzji dotyczącej leczenia należy zawsze porozmawiać z lekarzem.**

## 7. Czy planuje się inne badania?

Badania oceniające gantenerumab nadal trwają i planowane są kolejne. Badania te obejmują ocenę:

- uczestników z chorobą Alzheimera we wczesnym stadium (identyfikatory na stronie ClinicalTrials.gov: NCT03444870 i NCT03443973)
- uczestników z dziedziczną chorobą Alzheimera lub z ryzykiem jej rozwoju (identyfikator na stronie ClinicalTrials.gov: NCT01760005)
- bezpieczeństwa w długim okresie u osób, które ukończyły inne badania (identyfikatory na stronie ClinicalTrials.gov: NCT04374253 i NCT04339413)
- podawania leku w domu (identyfikator na stronie ClinicalTrials.gov: NCT04592341)

## 8. Gdzie można znaleźć dodatkowe informacje?

Więcej informacji o omawianym badaniu można znaleźć na następujących stronach internetowych:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT01224106>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2010-019895-66/results>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/ad/a-study-of-gantenerumab-in-participants-with-prodromal--48625.html>

Jeśli chciałby/chciałaby Pan/Pani dowiedzieć się więcej o wynikach uzyskanych w części 1 i części 2 omawianego badania, pełny tytuł pracy naukowej na ten temat brzmi: „Randomizowane badanie fazy III oceniające stosowanie gantenerumabu u uczestników z prodromalną chorobą Alzheimera”. Autorami tej pracy naukowej są: Susanne Ostrowitzki, Robert A. Lasser, Ernest Dorflinger, Philip Scheltens, Frederik Barkhof i inni. Została opublikowana w 2017 r. w czasopiśmie „*Alzheimer’s Research & Therapy*”, tom 9, nr 1, na stronach 1–15.

## Z kim można się skontaktować w razie pytań dotyczących tego badania?

W razie jakichkolwiek pytań, które mogą się nasunąć po przeczytaniu tego podsumowania wyników:

- Można wejść na platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy – <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/ad/a-study-of-gantenerumab-in-participants-with-prodromal--48625.html>
- Można skontaktować się z miejscowym przedstawicielstwem firmy Roche.

Osoby, które wzięły udział w tym badaniu i mają pytania dotyczące jego wyników:

- Powinny porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie bądź personelem szpitala lub ośrodka, w którym prowadzono badanie.

W razie pytań dotyczących zastosowanego w badaniu leczenia:

- Należy zwrócić się do swojego lekarza prowadzącego.

## **Kto zorganizował i opłacił to badanie?**

---

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

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

---

Pełna nazwa tego badania brzmi: „Badanie gantenerumabu u uczestników z prodromalną chorobą Alzheimera”.

Badanie jest określane akronimem SCarlet RoAD.

- Numer protokołu badania: WN25203.
- Numer identyfikacyjny badania na stronie ClinicalTrials.gov: NCT01224106.
- Numer EudraCT badania: 2010-019895-66.