

## Yhteenveto kliinisen lääketutkimuksen tuloksista

### Tutkimus, jossa arvioidaan baloksaviirimarboksiilin turvallisuutta, kun sitä annetaan influenssan hoitoon alle 1-vuotiaille lapsille (miniSTONE-1)

Tutkimuksen koko nimi löytyy tämän yhteenvedon lopusta.

#### Tietoa tästä yhteenvedosta

Tämä on yhteenveto kliinisen lääketutkimuksen (josta käytetään tässä asiakirjassa nimeä ”tutkimus”) tuloksista. Se on tarkoitettu

- suurelle yleisölle ja
- tutkimukseen osallistuneille.

Yhteenveto perustuu laatimisajankohtana saatavilla olleisiin tietoihin.

Tutkimus käynnistyi tammikuussa 2019 ja päättyi heinäkuussa 2023. Tämä yhteenveto laadittiin tutkimuksen päättyttyä.

Mikään yksittäinen tutkimus ei voi kertoa kaikkea lääkkeen riskeistä ja hyödyistä. Tarvitaan useita tutkimuksia, joihin osallistuu paljon ihmisiä, jotta kaikki tarvittava tieto saadaan selville. Tästä tutkimuksesta saadut tulokset saattavat poiketa muiden samalla lääkkeellä tehtyjen tutkimusten tuloksista.

- **Tämän vuoksi päätöksiä ei pidä tehdä tämän yksittäisen yhteenvedon perusteella – keskustelkaa aina lääkärin kanssa, ennen kuin teette lapsenne hoitoa koskevia päätöksiä.**

#### Yhteenvedon sisältö

1. Yleistä tietoa tutkimuksesta
2. Keitä tutkimukseen osallistui?
3. Mitä tutkimuksen aikana tapahtui?
4. Mitkä olivat tutkimuksen tulokset?
5. Miten tämä tutkimus on edistänyt aihetta koskevaa tutkimustyötä?
6. Onko lisää tutkimuksia suunnitteilla?
7. Mistä löydän lisätietoa?

#### Kiitos kaikille tutkimukseen osallistuneille

Tutkimuksen osallistujat ovat auttaneet tutkijoita vastaamaan tärkeisiin influenssaa ja tutkittavaa lääkettä (baloksaviirimarboksiilia) koskeviin kysymyksiin. Tästä voi olla hyötyä suurelle yleisölle.

## Tutkimuksen keskeiset tiedot

- Tutkimuksen tarkoituksena oli selvittää, onko baloksaviirimarboksiili turvallinen käytettäväksi alle 1-vuotilaille lapsille.
- Tutkimukseen osallistui 48 lasta 7 eri maasta (Costa Rica, Suomi, Meksiko, Puola, Etelä-Afrikka, Espanja ja Yhdysvallat).
- Keskeisin löydös oli, että baloksaviirimarboksiili on yhtä turvallinen alle 1-vuotiaille lapsille kuin tätä vanhemmille lapsille ja aikuisille.
- Yhdelläkään tutkimukseen osallistuneella lapsella ei ilmennyt vakavia haittavaikutuksia, jotka olisivat liittyneet baloksaviirimarboksiiliin.

## 1. Yleistä tietoa tutkimuksesta

### Miksi tämä tutkimus tehtiin?

Influenssa on yleinen tauti, joka johtuu influenssavirustartunnasta (infektiosta). Yleisiä oireita ovat kuume, yskä, kurkkukipu, säryt ja väsymys.

Influenssa paranee useimmiten viikon kuluessa ilman, että lääkarissa tarvitsee käydä. Joskus influenssa voi johtaa vakavampiin sairauksiin (komplikaatioihin), kuten keuhkojen turvotukseen/tulehdukseen (keuhkokuumeeseen) tai verenmyrkytykseen (sepsikseen). Lapset sairastuvat influenssaan herkästi, ja heillä ilmenee komplikaatioita todennäköisemmin kuin aikuisilla.

Influenssan oireiden hoitoon on olemassa monia itsehoitolääkkeitä, mutta ne eivät vaikuta taudin aiheuttajaan eli virusinfektioon. Viruslääkkeiden vaikutus kohdistuu suoraan influenssavirukseen. Lääkäri voi määrätä näitä lääkkeitä. Joka vuosi miljoonat ihmiset eri puolilla maailmaa tarvitsevat hoitoa influenssaan.

Baloksaviirimarboksiili on influenssan hoitoon tarkoitettu virislääke, joka vaikuttaa eri tavalla kuin muut virislääkkeet. Sen on osoitettu olevan tehokas influenssan hoidossa aikuisilla ja vähintään 1-vuotiailla lapsilla. Tässä tutkimuksessa tarkasteltiin baloksaviirimarboksiilin turvallisuutta alle 1-vuotiailla lapsilla.

### Mikä oli tutkittava lääke?

Tämä tutkimus koski baloksaviirimarboksiili-nimistä lääkettä.

- Lääkkeen nimi sanotaan ”ba-lok-sa-vii-ri-mar-bok-sii-li”.
- Baloksaviirimarboksiili vaikuttaa estämällä influenssaviruksen kopioitumista elimistössä.
- Näin baloksaviirimarboksiili saattaa lievittää influenssaa ja auttaa lapsia paranemaan nopeammin.

### Mitä tutkijat halusivat selvittää?

#### **Keskeinen kysymys, johon tutkijat halusivat löytää vastauksen:**

Kuinka monella lapsella ilmeni baloksaviirimarboksiilihoidosta johtuneita haittavaikutuksia (terveyshaittoja, joita ilmenee tutkimuksen aikana)?

## Millainen tutkimus tämä oli?

Kyseessä oli vaiheen 3 tutkimus, joka siis perustui aiempiin tutkimuksiin. Tarkoituksena oli selvittää baloksaviirimarboksiilin haittavaikutuksia alle 1-vuotiailla lapsilla. Tämän jälkeen voidaan päättää, voidaanko hoito hyväksyä annettavaksi alle 1-vuotiaille.

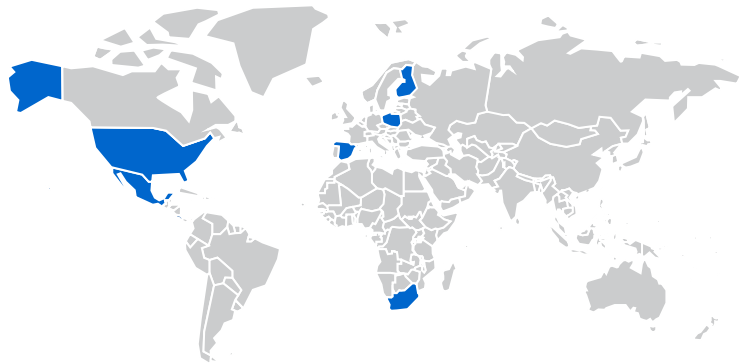
Kyseessä oli avoin tutkimus. Tämä tarkoittaa, että sekä tutkimuksen osallistujat että tutkijalääkärit tiesivät, mitä tutkimuslääkettä lapset saivat.

## Milloin ja missä tutkimus tehtiin?

Tutkimus käynnistyi tammikuussa 2019 ja päättyi heinäkuussa 2023. Tämä yhteenveto laadittiin tutkimuksen päätyttyä.

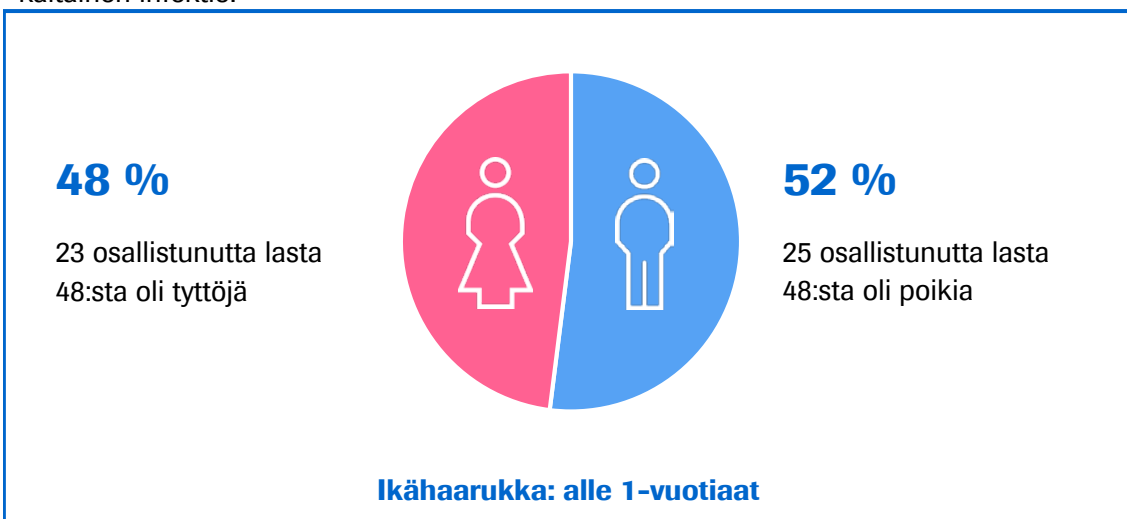
Tutkimus toteutettiin 15 tutkimuskeskuksessa 7 maassa, jotka näkyvät seuraavassa kartassa:

- Costa Rica
- Espanja
- Etelä-Afrikka
- Meksiko
- Puola
- Suomi
- Yhdysvallat



## 2. Keitä tutkimukseen osallistui?

Tähän tutkimukseen osallistui 48 alle 1-vuotiasta lasta, joilla oli influenssa tai influenssan kaltainen infektio.



Lapsi voitiin ottaa mukaan tutkimukseen, jos

- hän oli alle 1-vuotias
- hänen vanhempansa/huoltajansa suostuivat tutkimukseen osallistumiseen
- hänellä todettiin influenssa lääkärin oirearvion ja positiivisen influenssatestituloksen perusteella
- hän sai negatiivisen COVID-19- eli koronatestituloksen 2 päivän kuluessa lääkärikäynnistä
- hän kävi lääkärin vastaanotolla 4 päivän kuluessa influenssaoireiden ilmaantumisesta.

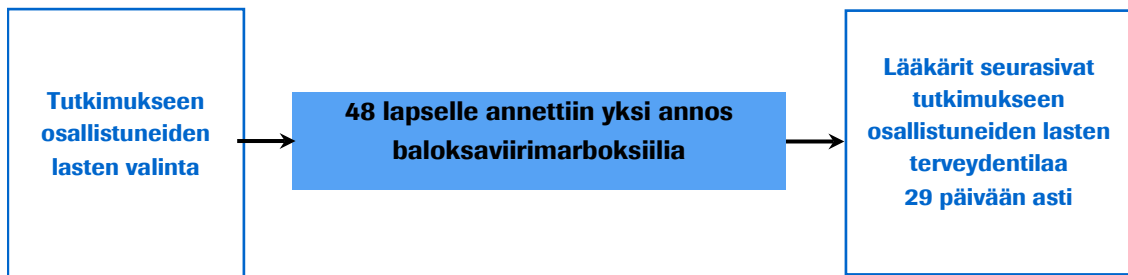
Lasta ei voitu ottaa tutkimukseen, jos

- hän tarvitsi sairaalahoitoa influenssan (tai jonkin muun sairauden) takia
- hänelle oli annettu jotakin muuta hoitoa, joka saattaisi vaikuttaa baloksaviirimarboksiilin toimintaan
- hän oli keskonen tai painoi alle 2,5 kg.

### 3. Mitä tutkimuksen aikana tapahtui?

Tutkimuksen aikana kaikille siihen osallistuville lapsille annettiin suun kautta kerta-annos baloksaviirimarboksiilia veteen sekoitettuna rakeina. Annettu määrä riippui lapsen painosta.

Kun tutkimus päättyi, siihen osallistuvien lasten vanhempia tai huoltajia pyydettiin käymään lisäkäynneillä tutkimuskeskuksessa lasten yleisen terveydentilan arvioimiseksi. Seuraavassa on lisätietoa siitä, mitä tutkimuksessa tapahtui.



## 4. Mitkä olivat tutkimuksen tulokset?

### **Keskeinen kysymys:** Kuinka monella lapsella ilmeni baloksaviirimarboksiilihoidon aiheuttamia haittavaikutuksia?

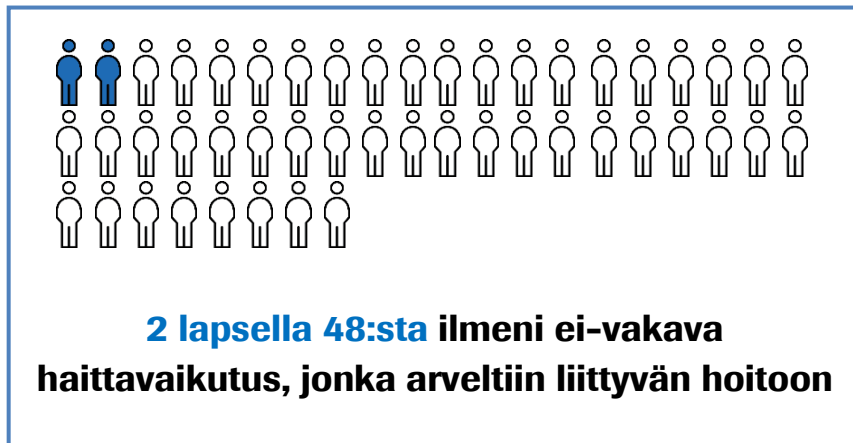
Haittavaikutukset ovat terveyshaittoja, joita ilmenee tutkimuksen aikana.

Ei-vakavat haittavaikutukset ovat tutkimuksen aikana ilmeneviä vaivoja, kuten huimaus. Haittavaikutus on vakava, jos se johtaa suunnittelemattomaan sairaalahoitoon (tai suunniteltua pidempään sairaalajaksoon), on henkeä uhkaava tai aiheuttaa pitkäaikaisen vamman tai haitan tai kuoleman. Tässä esitetään vain sellaiset haittavaikutukset, joiden lääkärit katsoivat liittyvän tutkimuslääkkeeseen.

Kaikilla tutkimukseen osallistuneilla lapsilla ei ilmennyt haittavaikutuksia.

Yhdelläkään tutkimukseen osallistuneella lapsella ei ilmennyt vakavaa haittavaikutusta, joka olisi liittynyt tutkimushoitoon.

Tähän tutkimukseen osallistuneista 48 lapsesta kahdella (4 %:lla) ilmeni ei-vakava haittavaikutus, jonka arveltiin liittyneen hoitoon. Kummassakin tapauksessa kyseessä oli ripuli.



Tutkimuksen aikana yhdelläkään baloksaviirimarboksiilia saaneista lapsista ei ilmennyt tutkimuslääkkeeseen mahdollisesti liittyneitä, kuolemaan johtaneita haittavaikutuksia.

Yhdelläkään baloksaviirimarboksiilia saaneista lapsista ei ilmennyt haittavaikutuksia, joiden takia tutkimuslääkkeen antaminen olisi lopetettu.

Tässä kohdassa on kerrottu vain tutkimuksen keskeiset tulokset. Tutkimustuloksista kerrotaan lisää verkkosivustoilla, jotka mainitaan tämän yhteenvedon lopussa (ks. kohta 7).

## 5. Miten tämä tutkimus on edistänyt aihetta koskevaa tutkimustyötä?

Tässä esitetyt tiedot ovat peräisin yhdestä tutkimuksesta, johon osallistuneilla 48:lla alle 1-vuotiaalla lapsella oli influenssa. Nämä tulokset auttoivat tutkijoita saamaan lisätietoa influenssasta ja baloksaviirimarboksiilista, mikä saattaa johtaa parempien hoitojen kehittämiseen suurelle yleisölle.

Tutkimuksen keskeiset havainnot ovat, että baloksaviirimarboksiili on yleensä ottaen turvallinen alle 1-vuotiaille lapsille eikä hoitoon liity vakavia haittavaikutuksia. Tämä vastaa tunnettuja tietoja baloksaviirimarboksiilin turvallisuudesta isommilla lapsilla, nuorilla ja aikuisilla.

Mikään yksittäinen tutkimus ei voi kertoa kaikkea lääkkeen riskeistä ja hyödyistä. Tarvitaan useita tutkimuksia, joihin osallistuu paljon ihmisiä, jotta kaikki tarvittava tieto saadaan selville. Tästä tutkimuksesta saadut tulokset saattavat poiketa muiden samalla lääkkeellä tehtyjen tutkimusten tuloksista.

- **Tämän vuoksi päätöksiä ei pidä tehdä tämän yksittäisen yhteenvedon perusteella – keskustelkaa aina lääkärin kanssa, ennen kuin teette lapsenne hoitoa koskevia päätöksiä.**

## 6. Onko suunnitteilla lisää tutkimuksia lapsille?

Baloksaviirimarboksiilia arvioidaan edelleen tutkimuksissa.

CENTERSTONE on tutkimus, jossa tarkastellaan baloksaviirimarboksiilin vaikutusta influenssan leviämisen pysäyttämiseksi 5–64-vuotiailla henkilöillä.

PEBBLESTONE on baloksaviirimarboksiilia koskeva tutkimus 1–11-vuotiailla lapsilla, ja siinä tarkastellaan influenssaviruksien kehittämää resistenssiä. Resistenssi tarkoittaa, että viruksessa tapahtuu muutoksia, jotka voivat heikentää virushoidon tehoa.

Lisätietoa näistä tutkimuksista on osoitteissa:

- <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03969212>
- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT06094010>

## 7. Mistä löydän lisätietoa?

Voitte hakea tätä tutkimusta (miniSTONE-1) koskevaa lisätietoa seuraavilta sivustoilta:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03653364>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002154-70/FI>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>

## Kehen voin ottaa yhteyttä, jos minulla on kysyttävää tästä tutkimuksesta?

Jos Teillä on kysyttävää tämän yhteenvedon lukemisen jälkeen:

- käykää ForPatients-alustalla ja täyttäkää yhteydenottolomake – <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- ottakaa yhteyttä Roche-yhtiön paikalliseen edustajaan.

Jos lapsenne osallistui tähän tutkimukseen ja Teillä on kysyttävää tuloksista:

- keskustelkaa tutkijalääkärin kanssa.

Jos Teillä on kysyttävää lapsenne hoidosta:

- keskustelkaa lapsenne hoidosta vastaavan lääkärin kanssa.

## **Kuka tutkimuksen toteutti ja kustansi?**

---

Tutkimuksen toteutti ja kustansi F. Hoffmann-La Roche Ltd, jonka pääkonttori on Sveitsin Baselissa.

## **Tutkimuksen koko nimi ja muut tunnistetiedot**

---

Tutkimuksen koko nimi on ”Yhdessä hoitoryhmässä tehtävä avoin monikeskustutkimus, jossa arvioidaan baloksaviirimarboksiilin turvallisuutta, farmakokinetiikkaa ja tehokkuutta, kun sitä annetaan influenssankaltaisten oireiden hoitoon alle 1-vuotiaille lapsille, jotka ovat muutoin terveitä”.

Tutkimuksesta käytetään nimeä ”miniSTONE-1”.

- Tutkimuskoodi on CP40559.
- Tutkimuksen tunniste ClinicalTrials.gov-sivustolla on NCT03653364.
- Tutkimuksen EudraCT-numero on 2018-002154-70.