

סיכום תוצאות הניסוי הקליני

מחקר הבודק את הבטיחות של בלוקסאוויר מרבוקסיל בתינוקות עם שפעת מתחת לגיל שנה (miniSTONE-1)

ניתן לראות את הכותרת המלאה של המחקר בסוף סיכום זה.

אודות סיכום זה

תוכן הסיכום	
1. מידע כללי על מחקר זה	זהו סיכום התוצאות של ניסוי קליני (נקרא "מחקר" במסמך זה) שנכתב עבור: <ul style="list-style-type: none"> • הציבור הרחב וכן • האנשים שהשתתפו במחקר
2. מי השתתף במחקר זה?	סיכום זה מבוסס על המידע הקיים בעת כתיבתו.
3. מה קרה במהלך המחקר?	המחקר התחיל בינואר 2019 והסתיים ביולי 2023. סיכום זה נכתב לאחר שהמחקר הסתיים.
4. מה היו תוצאות המחקר?	אין מחקר יחיד שיכול לספר לנו הכול על הסיכונים והיתרונות של תרופה. נדרשים אנשים ומחקרים רבים כדי לגלות את כל מה שאנחנו צריכים לדעת. התוצאות ממחקר זה עשויות להיות שונות ממחקרים אחרים עם אותה התרופה.
5. כיצד מחקר זה סייע למחקר המדעי?	<ul style="list-style-type: none"> • פירוש הדבר הוא שלא כדאי לכם לקבל החלטות על סמך סיכום זה בלבד – תמיד כדאי לשוחח עם הרופא שלכם לפני קבלת החלטות לגבי הטיפול של ילדכם
6. האם יש תוכניות לערוך מחקרים אחרים?	
7. היכן אוכל למצוא מידע נוסף?	

תודה לאנשים שהשתתפו במחקר זה

האנשים שהשתתפו במחקר עזרו לחוקרים לענות על שאלות חשובות בנוגע לשפעת ולתרופה שנחקרה (בלוקסאוויר מרבוקסיל [baloxavir marboxil]), ועשויה להיות לכך תועלת עבור הציבור הרחב.

עיקר המידע לגבי מחקר זה

- המחקר נערך כדי לגלות אם השימוש בבלוקסאוויר מרבוקסיל בטוח בתינוקות מתחת לגיל שנה
- מחקר זה כלל 48 תינוקות ב-7 מדינות (קוסטה ריקה, פינלנד, מקסיקו, פולין, דרום אפריקה, ספרד וארה"ב)
- הממצא העיקרי היה כי בלוקסאוויר מרבוקסיל בטוחה עבור תינוקות מתחת לגיל שנה כפי שהיא בטוחה בקרב ילדים בוגרים יותר ובקרב מבוגרים
- אף אחד מהתינוקות שהשתתפו לא חווה תופעות לוואי רציניות שהיו קשורות לבלוקסאוויר מרבוקסיל

1. מידע כללי לגבי מחקר זה

מדוע נערך מחקר זה?

שפעת היא מחלה נפוצה שנגרמת על ידי זיהום בנגיף השפעת. התסמינים הנפוצים כוללים חום, שיעול, כאבים בגוף ותשישות.

רוב האנשים מחלימים משפעת תוך שבוע בלי צורך ללכת לרופא. לפעמים שפעת יכולה להוביל למחלות רציניות יותר (סיבוכים) כגון נפיחות/דלקת בריאות (פנאמוניה) או אלח דם (ספסיס). ילדים חולים בשפעת לעיתים קרובות, ויש להם יותר סיכוי לפתח סיבוכים מאשר מבוגרים.

ישנן תרופות רבות ללא מרשם שיכולות לשמש לטיפול בתסמינים של שפעת, אך תרופות אלה לא מטפלות בגורם – הזיהום הנגיפי. טיפולים אנטי-ויראליים תוקפים את נגיף השפעת ישירות. רופאים יכולים לתת מרשם לטיפולים אלה. בכל שנה, מיליוני אנשים ברחבי העולם זקוקים לטיפול בשפעת.

בלוקסאוויר מרבוקסיל היא טיפול אנטי-ויראלי לשפעת שעובד באופן שונה מטיפולים אנטי-ויראליים אחרים. הוכח כי תרופה זו יעילה בטיפול בשפעת במבוגרים ובילדים מגיל שנה ומעלה. מחקר זה בדק עד כמה בלוקסאוויר מרבוקסיל בטוחה בילדים מתחת לגיל שנה.

מה הייתה התרופה שנחקרה?

מחקר זה התמקד בתרופה בשם "בלוקסאוויר מרבוקסיל"

- הגוים את השם כך: "בא-לוק-ס-ויר-מ-בוק-סיל"
- הפעולה של בלוקסאוויר מרבוקסיל היא מניעה מנגיף השפעת לשכפל את עצמו בתוך הגוף
- ההשפעה שלה יכולה להיות שהשפעת פחות רצינית וילדים מחלימים מהר יותר כשהם מקבלים טיפול בבלוקסאוויר מרבוקסיל

מה החוקרים רצו לגלות?

השאלה העיקרית שהחוקרים רצו לענות עליה הייתה:

לכמה תינוקות היו תופעות לוואי (בעיות רפואיות שמתרחשות במהלך המחקר) שנבעו מהטיפול בבלוקסאוויר מרבוקסיל?

איזה סוג מחקר זה היה?

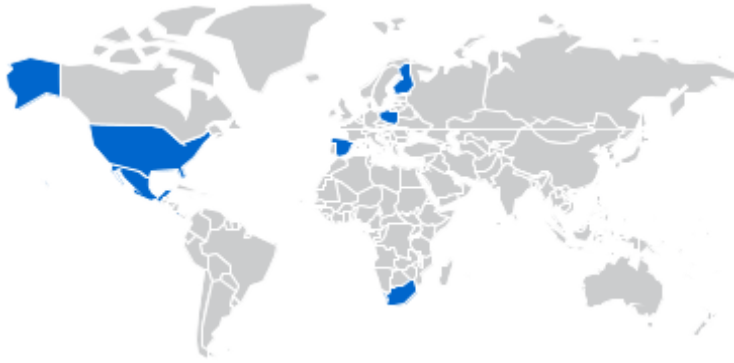
מחקר זה היה מחקר "שלב 3". פירוש הדבר הוא שמחקר זה הרחיב את המחקר של מחקרים קודמים כדי לגלות מידע על תופעות הלוואי של בלוקסאוויר מרבוקסיל בתינוקות מתחת לגיל שנה. לאחר מכן אפשר להחליט האם רופאים יכולים לאשר את הטיפול ולתת אותו לתינוקות.

זה היה מחקר "בתווית פתוחה". פירוש הדבר הוא שגם המשתתפים במחקר וגם רופאי המחקר ידעו איזו תרופת מחקר התינוקות מקבלים.

מתי והיכן מחקר זה התקיים?

המחקר התחיל בינואר 2019 והסתיים ביולי 2023. סיכום זה נכתב לאחר שהמחקר הסתיים.

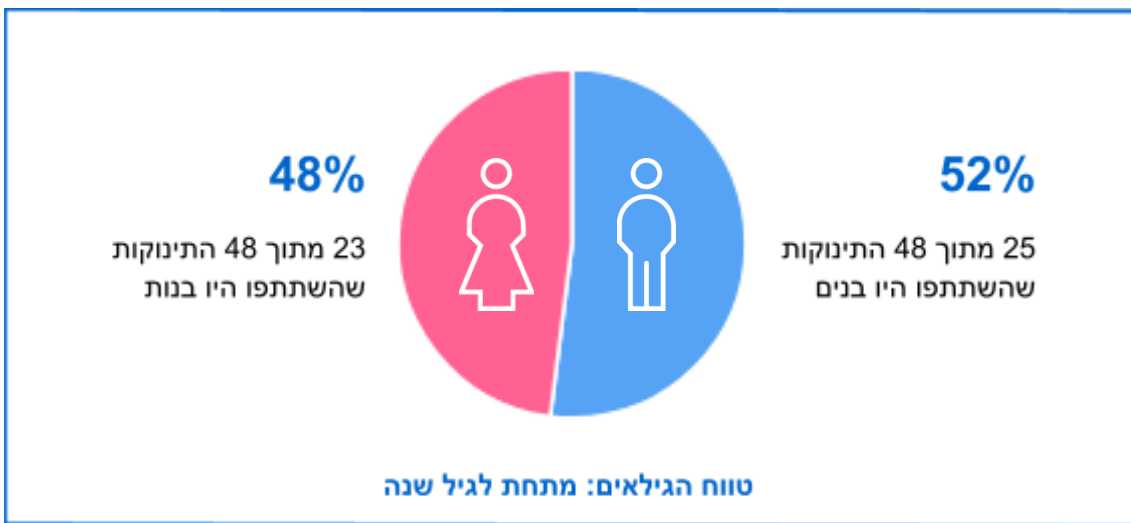
המחקר נערך ב-15 מרכזי מחקר ב-7 המדינות שמוצגות במפה שלהלן:



- קוסטה ריקה
- פינלנד
- מקסיקו
- פולין
- דרום אפריקה
- ספרד
- ארה"ב

2. מי השתתף במחקר זה?

במחקר זה השתתפו 48 תינוקות מתחת לגיל שנה עם שפעת או זיהום דמוי-שפעת.



התינוקות יכלו להשתתף במחקר אם:

- הם היו מתחת לגיל שנה
- ההורים/מטפלים שלהם הסכימו שהם ישתתפו במחקר
- הם אובחנו עם שפעת בעקבות הערכת התסמינים על ידי רופא ותוצאה חיובית בבדיקת שפעת
- הייתה להם תוצאה שלילית בבדיקת קורונה במהלך היומיים שלפני הביקור אצל הרופא
- הם ביקרו אצל הרופא בטווח של 4 ימים מהזמן שבו הם חוו תסמיני שפעת

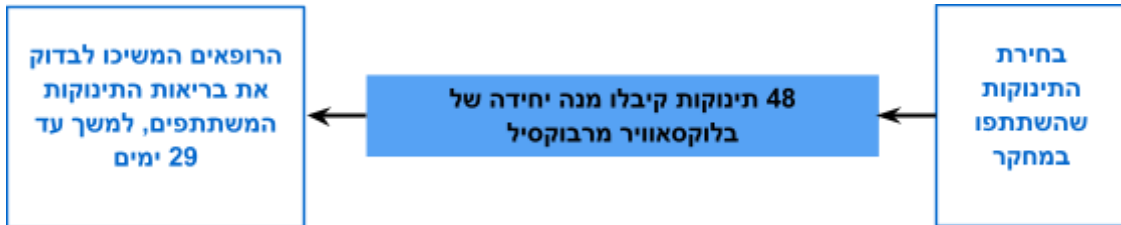
תינוקות לא יכלו להשתתף במחקר אם:

- הם היו זקוקים לטיפול בשפעת (או במחלה אחרת) בבית חולים
- ניתן להם טיפול אחר שיכול להשפיע על אופן הפעולה של בלוקסאוויר מרבוקסיל
- הם נולדו פגים, או שהם שקלו פחות מ-2.5 ק"ג

3. מה קרה במהלך המחקר?

במהלך המחקר, כל התינוקות שהשתתפו קיבלו מנה יחידה של בלוקסאויר מרבוקסיל בצורה של גרגירים שעורבבו עם מים וניטלו דרך הפה. הכמות שניתנה להם הייתה תלויה במשקל הגוף שלהם.

בתום המחקר, ההורים או המטפלים של התינוקות המשתתפים התבקשו לחזור למרכז המחקר שלהם לביקורים נוספים – כדי לבדוק את הבריאות הכללית של התינוקות. להלן מידע נוסף על מה שקרה במחקר.



4. מה היו תוצאות המחקר?

השאלה העיקרית: לכמה תינוקות היו תופעות לוואי שנבעו מהטיפול בבלוקסאויר מרבוקסיל?

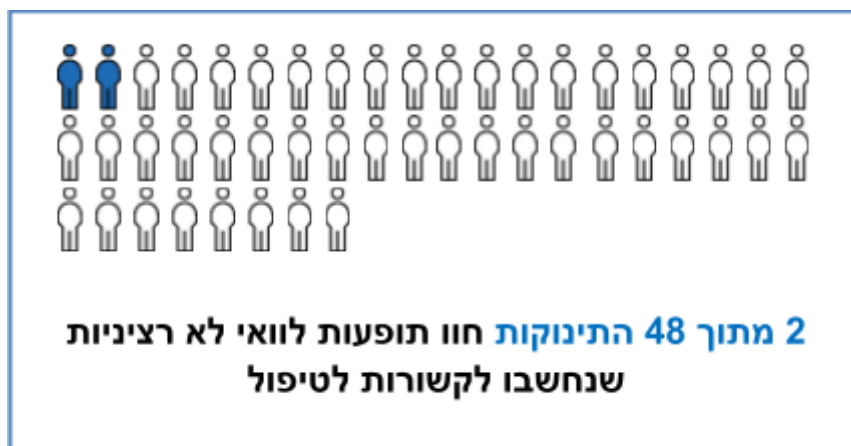
תופעות לוואי הן בעיות רפואיות שמתרחשות במהלך המחקר.

תופעות לוואי לא רציניות הן בעיות רפואיות (כגון תחושת סחרחורת) שמתרחשות במהלך המחקר. תופעות לוואי רציניות הן התופעות שמובילות לאשפוז לא מתוכנן (או אשפוז ארוך מהמתוכנן) או שהן מסכנות חיים, גורמות למוגבלות ארוכת טווח או מובילות למוות. מוצגות רק תופעות לוואי שהרופאים סברו כי הן קשורות לתרופת המחקר.

לא לכל התינוקות במחקר זה היו תופעות לוואי.

לאף אחד מהתינוקות שהשתתפו במחקר לא היו תופעות לוואי רציניות שהיו קשורות לתרופת המחקר.

מתוך 48 התינוקות שהשתתפו במחקר, 2 (4%) חוו תופעות לוואי לא רציניות שנחשבו לקשורות לטיפול. שתי תופעות הלוואי האלה היו שלשולים.



במהלך המחקר, אף אחד מהתינוקות שקיבלו טיפול בבלוקסאוור מרבוקסיל לא מת כתוצאה מתופעות לוואי שעשויות היו להיות קשורות לתרופת המחקר.
אף אחד מהתינוקות שקיבלו טיפול בבלוקסאוור מרבוקסיל לא הפסיק לקבל את תרופת המחקר בגלל תופעות לוואי.
סעיף זה מציג רק את התוצאות העיקריות ממחקר זה. ניתן למצוא מידע נוסף על תוצאות המחקר באתרי האינטרנט שרשומים בסוף סיכום זה (יש לעיין בסעיף 7).

5. כיצד מחקר זה סייע למחקר באופן המדעי?

המידע שמוצג כאן הוא ממחקר יחיד שנערך ב-48 תינוקות עם שפעת מתחת לגיל שנה. תוצאות אלה עזרו לחוקרים ללמוד עוד על שפעת ועל בלוקסאוור מרבוקסיל, דבר שיכול להוביל לטיפולים טובים יותר עבור הציבור הרחב.

הממצאים העיקריים של המחקר הם כי בלוקסאוור מרבוקסיל בטוחה באופן כללי עבור תינוקות מתחת לגיל שנה ולא היו להם תופעות לוואי רציניות הקשורות לטיפול. תוצאות אלה תואמות למידע הקיים על הבטיחות של בלוקסאוור מרבוקסיל בקרב ילדים בוגרים יותר, מתבגרים ומבוגרים.

אין מחקר יחיד שיכול לספר לנו הכול על הסיכונים והיתרונות של תרופה. נדרשים אנשים ומחקרים רבים כדי לגלות את כל מה שאנחנו צריכים לדעת. התוצאות ממחקר זה עשויות להיות שונות ממחקרים אחרים עם אותה התרופה.

- פירוש הדבר הוא שלא כדאי לכם לקבל החלטות על סמך סיכום זה בלבד – תמיד כדאי לשוחח עם הרופא שלכם לפני קבלת החלטות לגבי הטיפול של ילדכם.

6. האם יש תוכניות לערוך מחקרים אחרים בקרב ילדים?

עדיין נערכים מחקרים עם בלוקסאוור מרבוקסיל.

CENTERSTONE הוא מחקר שבודק את ההשפעה של בלוקסאוור מרבוקסיל על עצירת ההתפשטות של שפעת בקרב אנשים מגיל 5 עד 64 שנים.

PEBBLESTONE הוא מחקר של בלוקסאוור מרבוקסיל בקרב ילדים מגיל שנה עד 11 שנים, הבודק את העמידות של נגיף השפעת, כלומר, התופעה שבה מתרחשים שינויים בתוך הנגיף שעלולים להפוך את הטיפול האנטי-ויראלי לפחות יעיל.

ניתן למצוא מידע נוסף על מחקרים אלה בכתובות:

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

7. היכן אוכל למצוא מידע נוסף?

ניתן למצוא מידע נוסף על מחקר זה (miniSTONE-1) באתרי האינטרנט הרשומים להלן:

- <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>

עם מי אוכל ליצור קשר אם יהיו לי שאלות על מחקר זה?

אם יש לכם שאלות נוספות כלשהן לאחר קריאת סיכום זה:

- יש לבקר בפלטפורמת ForPatients ולמלא את הטופס ליצירת קשר – <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>

- יש ליצור קשר עם נציג המשרד המקומי של Roche באזורכם.

אם ילדכם השתתף במחקר זה ויש לכם שאלות לגבי התוצאות:

- יש לדבר עם רופא המחקר

אם יש לכם שאלות לגבי הטיפול בילדכם:

- יש לדבר עם הרופא האחראי לטיפול בילדכם

מי אירגן ומימן מחקר זה?

מחקר זה אורגן ומומן על ידי F. Hoffmann-La Roche Ltd, שמשרדיה הראשיים נמצאים בבאזל, שווייץ.

השם המלא של המחקר ומידע מזהה אחר

השם המלא של מחקר זה הוא: "מחקר להערכת הבטיחות, הפרמקוקינטיקה והיעילות של בלוקסאוויר מרבוקסיל בתינוקות מגיל לידה עד שנה עם תסמינים דמויי שפעת ללא מחלות נוספות".

המחקר נודע בכינוי "miniSTONE-1".

- מספר הפרוטוקול של מחקר זה הוא: CP40559
- המזהה של מחקר זה באתר ClinicalTrials.gov הוא: NCT03653364
- מספר ה-EudraCT של מחקר זה הוא: 2018-002154-70