

Podsumowanie wyników badania klinicznego

Badanie oceniające bezpieczeństwo stosowania baloksawiru marboksyłu u dzieci z grypą w wieku poniżej 1 roku (badanie miniSTONE-1)

Pełny tytuł badania podano na końcu tego dokumentu.

Informacje o Podsumowaniu

Podsumowanie wyników badania klinicznego (zwanego w tym dokumencie „badaniem”) zostało opracowane dla:

- opinii publicznej oraz
- uczestników badania.

Podsumowanie oparto na informacjach, które były dostępne w czasie opracowywania dokumentu.

Badanie rozpoczęto w styczniu 2019 r., a zakończono je w lipcu 2023 r. Podsumowanie to opracowano po zakończeniu badania.

Jedno badanie nigdy nie powie nam wszystkiego o zagrożeniach i korzyściach związanych ze stosowaniem danego leku. Dopiero udział wielu pacjentów w wielu badaniach pozwala nam uzyskać wszystkie 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 jakiejkolwiek decyzji dotyczącej leczenia dziecka należy zawsze porozmawiać z lekarzem.**

Spis treści

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

Podziękowania dla uczestników badania

Osoby, które wzięły udział w badaniu, pomogły badaczom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące grypy i badanego leku (baloksawiru marboksyłu), co może przynieść korzyści dla ogółu społeczeństwa.

Kluczowe informacje o badaniu

- Badanie to przeprowadzono, aby sprawdzić, czy baloksawir marboksylu może być bezpiecznie stosowany u dzieci młodszych niż 1 rok.
- W badaniu wzięło udział 48 dzieci w 7 krajach (Kostaryka, Finlandia, Meksyk, Polska, RPA, Hiszpania i USA).
- Główne wyniki potwierdziły, że baloksawir marboksylu jest tak samo bezpieczny u dzieci młodszych niż 1 rok, jak u starszych dzieci i osób dorosłych.
- U żadnego z dzieci, które wzięły udział w badaniu, nie wystąpiły ciężkie działania niepożądane związane z baloksawirem marboksylu.

1. Ogólne informacje o badaniu

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Grypa to powszechna choroba spowodowana zakażeniem wirusem grypy. Częste objawy to gorączka, kaszel, ból gardła, bóle całego ciała i uczucie zmęczenia.

U większości osób grypa ustępuje w ciągu tygodnia bez konieczności zgłaszania się do lekarza. Czasami grypa może prowadzić do wystąpienia poważniejszych chorób (powikłań), takich jak obrzęk/zapalenie płuc lub zatrucie krwi (posocznica/sepsa). Grypa to częsta choroba u dzieci, a prawdopodobieństwo wystąpienia u nich powikłań jest większe niż w przypadku osób dorosłych.

Dostępnych jest wiele leków bez recepty, które można stosować w leczeniu objawów grypy. Nie leczą one jednak przyczyny choroby – zakażenia wirusowego. Leki przeciwwirusowe atakują bezpośrednio wirusa grypy. Takie leki może przepisać lekarz lub farmaceuta. Każdego roku miliony ludzi na całym świecie potrzebują leków na grypę.

Baloksawir marboksylu to lek przeciwwirusowy stosowany w leczeniu grypy, który działa inaczej niż inne leki przeciwwirusowe. Wykazano, że jest on skuteczny w leczeniu grypy u osób dorosłych i dzieci w wieku co najmniej 1 roku. W omawianym badaniu oceniano bezpieczeństwo stosowania baloksawiru marboksylu u dzieci w wieku poniżej 1 roku.

Jaki lek stosowano w badaniu?

Głównym przedmiotem badania był lek o nazwie baloksawir marboksylu.

- Wymowa: „ba-lo-ksa-wir mar-bo-ksy-lu”.
- Baloksawir marboksylu działa przez hamowanie wytwarzania kopii wirusa grypy w organizmie.
- Może to oznaczać, że po zastosowaniu baloksawiru marboksylu grypa stanie się mniej poważna, a dzieci szybciej wyzdrowieją.

Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

Główne pytanie, na które chcieli odpowiedzieć badacze:

U ilu dzieci wystąpiły działania niepożądane (problemy medyczne, które występują w trakcie badania) związane z leczeniem baloksawirem marboksylu?

Jaki był to rodzaj badania?

Omawiane badanie było badaniem „fazy III”. Oznacza to, że badanie to stanowiło rozszerzenie wcześniejszych badań i miało na celu dostarczenie większej ilości informacji na temat działań niepożądanych baloksawiru marboksylu u dzieci w wieku poniżej 1 roku. Dzięki temu będzie można zdecydować, czy lek ten można zatwierdzić, tak aby lekarze byli w stanie go przepisywać bardzo małym dzieciom.

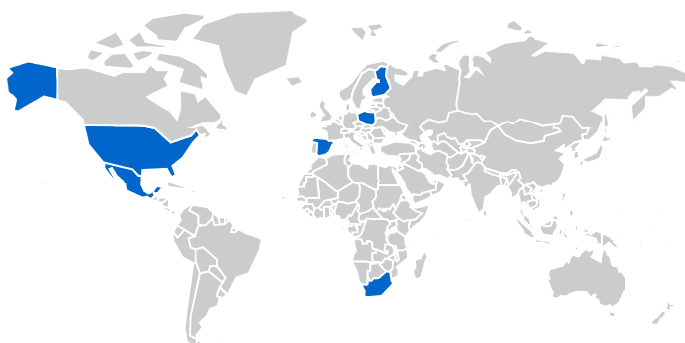
Było to badanie prowadzone „metodą otwartej próby”. Oznacza to, że zarówno pacjenci uczestniczący w badaniu, jak i prowadzący badanie lekarze wiedzieli, jaki badany lek otrzymują dzieci.

Kiedy i gdzie prowadzono badanie?

Badanie rozpoczęto w styczniu 2019 r., a zakończono je w lipcu 2023 r. Podsumowanie to opracowano po zakończeniu badania.

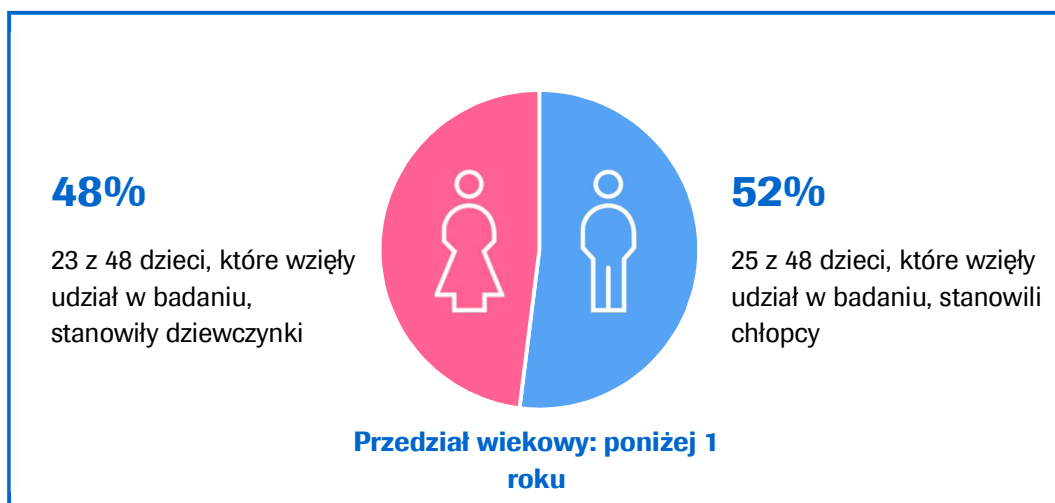
Badanie prowadzono w 15 ośrodkach badawczych w 7 krajach wskazanych na poniższej mapie:

- Kostaryka
- Finlandia
- Meksyk
- Polska
- RPA
- Hiszpania
- USA



2. Kto uczestniczył w badaniu?

W badaniu tym wzięło udział 48 dzieci w wieku poniżej 1 roku z grypą lub zakażeniem grypopodobnym.



Dzieci mogły wziąć udział w badaniu, jeżeli spełniały następujące warunki:

- były w wieku poniżej 1 roku,
- ich rodzice/opiekunowie wyrazili zgodę na ich udział w badaniu,
- rozpoznano u nich grypę na podstawie oceny objawów przez lekarza oraz dodatniego wyniku badania na obecność wirusa grypy,
- wynik badania w kierunku COVID-19 wykonanego w ciągu 2 dni od wizyty u lekarza był ujemny,
- zgłosili się do lekarza w ciągu 4 dni od wystąpienia objawów grypy.

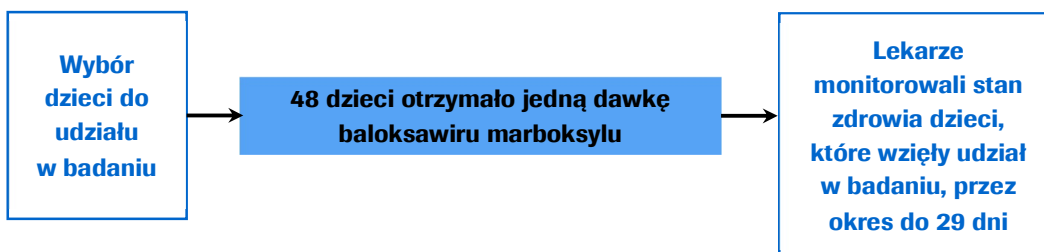
Dzieci nie mogły wziąć udziału w badaniu, jeżeli:

- wymagały leczenia grypy (lub innej choroby) w szpitalu,
- podano im inne leki, które mogłyby wpływać na działanie baloksawiru marboksyłu,
- urodziły się przedwcześnie lub ważyły mniej niż 2,5 kg.

3. Co działo się w trakcie badania?

W trakcie badania wszystkie dzieci, które wzięły w nim udział, otrzymały pojedynczą dawkę baloksawiru marboksyłu doustnie w postaci granulatu zmieszanego z wodą. Podana ilość leku zależała masy ciała.

Po zakończeniu badania rodzice lub opiekunowie dzieci uczestniczących w badaniu zostali poproszeni o ponowne zgłoszenie się do ośrodka badawczego na dodatkowe wizyty w celu sprawdzenia ogólnego stanu zdrowia dzieci. Poniżej przedstawiono więcej informacji dotyczących tego, co się działo podczas badania.



4. Jakie są wyniki badania?

Główne pytanie: U ilu dzieci wystąpiły działania niepożądane związane z leczeniem baloksawirem marboksyłu?

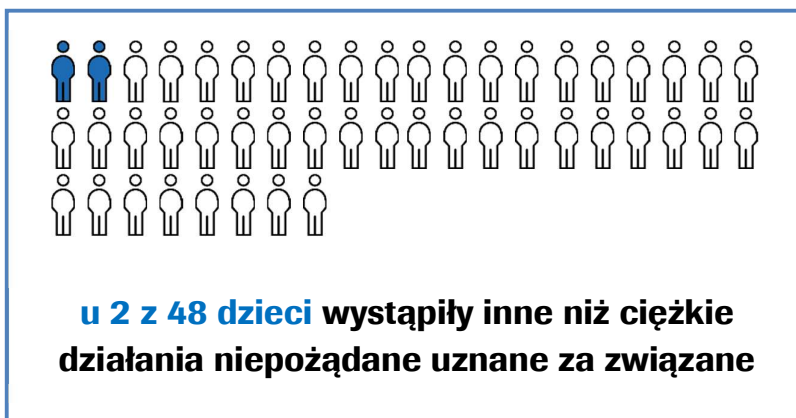
Działania niepożądane to problemy zdrowotne, które mogą się pojawić w czasie badania.

Działania niepożądane inne niż ciężkie to problemy zdrowotne (takie jak zawroty głowy), które pojawiają się w czasie badania. Ciężkie działania niepożądane to takie, które powodują nieplanowaną hospitalizację (lub wydłużają hospitalizację) lub zagrażają życiu, powodują długotrwałą niepełnosprawność albo prowadzą do zgonu. Przedstawiono tylko działania niepożądane, które zdaniem lekarzy były związane z badanym lekiem.

Nie u wszystkich dzieci biorących udział w tym badaniu wystąpiło działanie niepożądane.

U żadnego z dzieci uczestniczących w tym badaniu nie wystąpiły ciężkie działania niepożądane, które byłyby związane z badanym leczeniem.

Spośród 48 dzieci biorących udział w tym badaniu u 2 (4%) wystąpiły inne niż ciężkie działania niepożądane, które uznano za związane z leczeniem. W obu przypadkach była to biegunka.



W trakcie badania żadne z dzieci leczonych baloksawirem marboksyłu nie zmarło z powodu działań niepożądanych, które mogły być związane z badanym lekiem.

Żadne z dzieci leczonych baloksawirem marboksyłu nie przerwało stosowania badanego leku z powodu działań niepożądanych.

W tym punkcie przedstawiono wyłącznie główne wyniki badania. Więcej informacji na temat wyników badania można znaleźć na stronach internetowych podanych na końcu tego podsumowania (patrz punkt 7).

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

Dane przedstawione w niniejszym dokumencie pochodzą z jednego badania, w którym uczestniczyło 48 chorujących na grypę dzieci w wieku poniżej 1 roku. Wyniki te pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat grypy i baloksawiru marboksyłu, co może przyczynić się do poprawy metod leczenia dla ogółu społeczeństwa.

Główne wyniki badania są następujące: baloksawir marboksylu jest ogólnie bezpieczny u dzieci w wieku poniżej 1 roku i nie wystąpiły żadne ciężkie działania niepożądane związane z leczeniem. Jest to zgodne ze znanym profilem bezpieczeństwa baloksawiru marboksylu u starszych dzieci, młodzieży i osób dorosłych.

Jedno badanie nigdy nie powie nam wszystkiego o zagrożeniach i korzyściach związanych ze stosowaniem danego leku. Dopiero udział wielu pacjentów w wielu badaniach pozwala nam uzyskać wszystkie 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 dziecka należy zawsze porozmawiać z lekarzem.**

6. Czy planuje się inne badania z udziałem dzieci?

Badania nad baloksawirem marboksylu nadal trwają.

Badanie CENTERSTONE to badanie oceniające wpływ baloksawiru marboksylu na powstrzymanie rozprzestrzeniania się grypy u osób w wieku od 5 do 64 lat.

Badanie PEBBLESTONE to badanie z zastosowaniem baloksawiru marboksylu u dzieci w wieku od 1 roku do 11 lat, w którym ocenia się oporność wirusa grypy, czyli sytuację, w której zachodzą zmiany wewnątrz wirusa mogące zmniejszać skuteczność leczenia przeciwwirusowego.

Więcej informacji na temat tych badań można znaleźć na stronach:

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

7. Gdzie można znaleźć dodatkowe informacje?

Więcej informacji na temat tego badania (badanie miniSTONE-1) można znaleźć na następujących stronach internetowych:

- <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>

Z kim mogę się kontaktować w razie pytań dotyczących tego badania?

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

- Można wejść na platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy – <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- Można też skontaktować się z miejscowym biurem firmy Roche.

Jeżeli Pana/Pani dziecko uczestniczyło w tym badaniu i ma Pan/Pani jakiegokolwiek pytania na temat jego wyników:

- Proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie.

W przypadku pytań dotyczących leczenia Pana/Pani dziecka:

- Należy zwrócić się do lekarza prowadzącego leczenie Pana/Pani dziecka.

Kto zorganizował i sfinansował 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

Pełny tytuł badania brzmi: „Badanie prowadzone w celu oceny bezpieczeństwa stosowania, farmakokinetyki i skuteczności Baloxaviru Marboxilu u ogólnie zdrowych dzieci w wieku od urodzenia do <1 roku życia z objawami grypopodobnymi”.

Badanie to znane jest jako badanie „miniSTONE-1”.

- Numer protokołu badania to CP40559.
- Numer identyfikacyjny badania w ClinicalTrials.gov to NCT03653364.
- Numer EudraCT omawianego badania to 2018-002154-70.