

## Zusammenfassung der Ergebnisse der klinischen

### Eine Studie zur Untersuchung der langfristigen Sicherheit eines Medikaments, Efmardocokin alfa, bei Menschen mit Colitis ulcerosa

Der vollständige Titel der Studie ist dem Ende der Zusammenfassung zu entnehmen.

#### Über diese Zusammenfassung

Dies ist eine Zusammenfassung der Ergebnisse einer klinischen Studie (in diesem Dokument als „Studie“ bezeichnet).

Diese Zusammenfassung ist für:

- die Öffentlichkeit
- Personen, die an der Studie teilgenommen haben

Diese Zusammenfassung basiert auf Informationen, die zum Zeitpunkt der Abfassung dieses Textes bekannt waren.

Die Studie begann im Januar 2019 und endete im Juli 2022. Diese Zusammenfassung wurde nach Beendigung der Studie verfasst.

Keine einzelne Studie kann über alle Risiken und Vorteile eines Medikaments informieren. Es sind viele Personen in verschiedenen Studien erforderlich, um alles herauszufinden, was wir wissen müssen. Die Ergebnisse dieser Studie können sich von denen anderer Studien mit demselben Medikament unterscheiden.

- **Dies bedeutet, dass Sie nicht aufgrund dieser einen Zusammenfassung Entscheidungen treffen sollten.**
- **Sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt, bevor Sie eine Entscheidung über Ihre Behandlung treffen.**

#### Inhalt der Zusammenfassung

1. Allgemeine Informationen zu dieser Studie
2. Wer hat an dieser Studie teilgenommen?
3. Was ist während der Studie passiert?
4. Was waren die Ergebnisse der Studie?
5. Was waren die Nebenwirkungen?
6. Wie hat diese Studie die Forschung unterstützt?
7. Sind andere Studien geplant?
8. Wo finde ich weitere Informationen?

#### Wir danken den Personen, die an dieser Studie teilgenommen haben

Die Personen, die an der Studie teilnahmen, halfen den Forschern, wichtige Fragen zu Colitis ulcerosa (CU) – und „Efmardocokin Alfa“, dem Prüfpräparat, zu beantworten.

## Wesentliche Informationen zu dieser Studie

- Diese Studie wurde durchgeführt, um herauszufinden, ob das Prüfpräparat sicher ist und bei langfristiger Anwendung vertragen wird.
- Alle Studienteilnehmer erhielten die gleiche Dosis des Prüfpräparats, Efmardocokin alfa.
- An dieser Studie nahmen 128 Personen in 14 Ländern teil.
- Das wichtigste Ergebnis war, dass die Nebenwirkungen von Efmardocokin alfa ein annehmbares Niveau hatten.
- Eine Person (1 %) hatte eine schwerwiegende Nebenwirkung, die durch das Prüfpräparat verursacht wurde.
- Dreiundvierzig Personen (34 %) hatten Nebenwirkungen, die nicht schwerwiegend waren, von denen aber angenommen wurde, dass sie durch das Prüfpräparat verursacht wurden.
- Diese Studie wurde vorzeitig beendet, weil das untersuchte Medikament nicht so gut gegen Colitis ulcerosa wirkte wie erwartet.

## 1. Allgemeine Informationen zu dieser Studie

### Warum wurde diese Studie durchgeführt?

Die Colitis ulcerosa betrifft den Dickdarm. Sie ist ein Beispiel für eine entzündliche Darmerkrankung (Inflammatory Bowel Disease, IBD), bei der die Entzündung langfristig anhält.

CU geht mit Blutungen im Enddarm, Magenschmerzen, Durchfall und blutigem Durchfall einher. Zur Behandlung der Colitis ulcerosa stehen zahlreiche Medikamente zur Verfügung, darunter Kortikosteroide, Immunsuppressiva (Azathioprin, 6-Mercaptopurin und Methotrexat), Anti-Tumor-Nekrose-Faktor (TNF) und Anti-Integrin-Therapie.

Einige der Medikamente wirken durch Unterdrückung des Immunsystems. Dies ist zwar nützlich für die Kontrolle der Colitis ulcerosa, aber leider kann ein unterdrücktes Immunsystem auch Nebenwirkungen haben.

Forscher arbeiten daran, sicherere Medikamente zu finden, die nicht das Immunsystem unterdrücken. Medikamente, die verhindern können, dass sich die Krankheit verschlimmert, werden von besonderem Nutzen sein, damit die Patienten keinen chirurgischen Eingriff benötigen.

Efmardocokin alfa ist ein neues Arzneimittel, das derzeit untersucht wird. Es wurde Menschen mit Colitis ulcerosa in anderen Studien verabreicht. Es unterdrückt nicht das Immunsystem.

Diese Studie wurde durchgeführt, um herauszufinden, wie sicher es war, Efmardocokin alfa über einen längeren Zeitraum anzuwenden. An dieser Studie nahmen Personen teil, die Efmardocokin alfa bereits kurzzeitig in einer anderen Studie angewendet hatten.

## Was war das Prüfpräparat?

---

Im Mittelpunkt dieser Studie stand ein Medikament namens „Efmarodocokin alfa“.

- Dieses Medikament ist auch als „UTTR1147A“ bekannt.
- Efmarodocokin alfa ist ein Arzneimittel, das durch die Verbindung (Fusion) zweier verschiedener Proteine – eines davon ist IL22 – hergestellt wird und entzündungshemmende Eigenschaften hat.
- Efmarodocokin wird untersucht, um herauszufinden, ob es für Menschen mit Colitis ulcerosa nützlich sein könnte.

## Was wollten die Forscher herausfinden?

---

Die Forscher hatten zuvor eine Studie durchgeführt, in der Efmarodocokin alfa mit einem bestehenden Medikament (Vedolizumab) und einem Placebo verglichen wurde.

Viele Teilnehmer der vorherigen Studie nahmen an der aktuellen Studie teil – nachdem die vorherige Studie beendet war.

### **Die Hauptfrage, die die Forscher beantworten wollten, lautete:**

1. Wie sicher war die langfristige Anwendung von Efmarodocokin alfa?

## Um welche Art von Studie handelte es sich?

---

Es handelte sich um eine **offene Verlängerungsstudie**.

Die Forscher und die Teilnehmer der Studie (**Studienteilnehmer**) wussten, welche Behandlung die Studienteilnehmer in dieser Studie erhielten. Da dies allen bekannt war, handelte es sich um eine „**offene Studie**“.

In einer früheren Studie hatten die Forscher die Sicherheit von Efmarodocokin alfa bei Patienten mit Colitis ulcerosa untersucht. Bei der aktuellen Studie handelte es sich um eine „**Verlängerungsstudie**“, da die Forscher die Wirkungen von Efmarodocokin alfa bei den Teilnehmern der vorherigen Studie weiter untersuchen wollten. Personen aus der vorherigen Studie (GA39925) nahmen an dieser Studie (GA40209) teil.

## Wann und wo wurde die Studie durchgeführt?

---

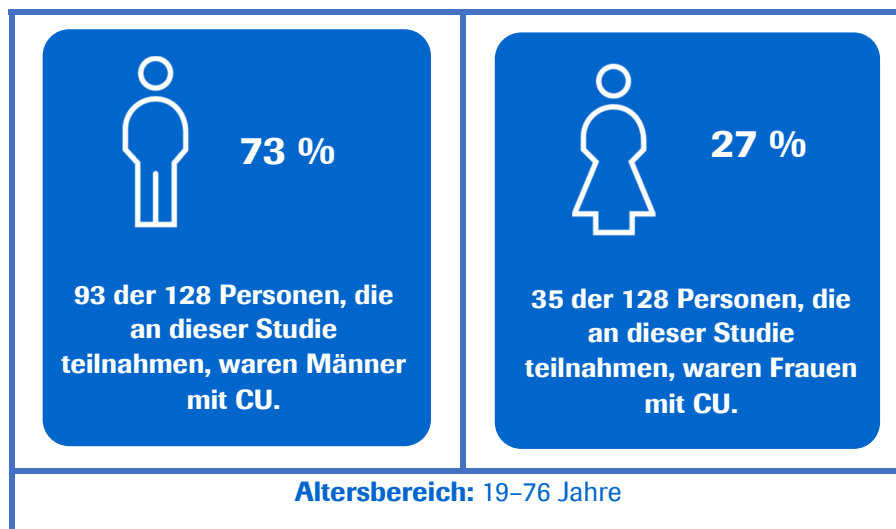
Die Studie begann im Januar 2019 und endete im Juli 2022. Diese Zusammenfassung wurde nach Beendigung der Studie verfasst.

Die Studie fand in 66 Prüfzentren in 14 Ländern statt:

- Polen (17 Prüfzentren)
- Ukraine (17 Prüfzentren)
- Serbien (7 Prüfzentren)
- Deutschland (5 Prüfzentren)
- Russland (5 Prüfzentren)
- Italien (4 Prüfzentren)
- Griechenland (3 Prüfzentren)
- Bulgarien (2 Prüfzentren)
- Georgien (1 Prüfzentrum)
- Irland (1 Prüfzentrum)
- Moldawien (1 Prüfzentrum)
- Spanien (1 Prüfzentrum)
- Vereinigtes Königreich (1 Prüfzentrum).
- USA (1 Prüfzentrum)

## 2. Wer hat an dieser Studie teilgenommen?

Einhundertachtundzwanzig Patienten mit Colitis ulcerosa erhielten mindestens eine Dosis des Prüfpräparats.



**Personen konnten an der Studie teilnehmen, wenn sie alle der folgenden Bedingungen erfüllten:**

- Sie hatten an einer früheren Studie zu Efmardocokin alfa – Studie GA39925 – teilgenommen.
- Sie konnten die Anforderungen der aktuellen Studie erfüllen. Eine der Voraussetzungen war die Anwendung von Empfängnisverhütung während der Anwendung des Prüfpräparats.

**Personen konnten nicht an der Studie teilnehmen, wenn sie eine beliebige der folgenden Bedingungen erfüllten:**

- Sie erfüllten die Bedingungen für den Abbruch der Studienbehandlung in der vorherigen Studie.
- Sie brachen die Studienbehandlung ab und verließen die vorherige Studie (GA39925) – bevor sie für diese Studie infrage kommen konnten.
- Sie hielten sich nicht an die Ihnen in der Studie GA39925 gestellten Anforderungen. Zum Beispiel,
  - haben sie das Prüfzentrum nicht zum vorgesehenen Termin aufgesucht
  - haben sie die Anwendung der erforderlichen Medikamente nicht eingehalten
- Frauen, die schwanger waren oder stillten, oder die beabsichtigten, innerhalb eines bestimmten Zeitraums nach der Studienbehandlung schwanger zu werden.
- Jede Veränderung des Gesundheitszustands nach Aufnahme in die Studie GA39925.
- Anwendung von Therapien, die in dieser Studie nicht gestattet sind.

### **3. Was ist während der Studie passiert?**

**Haben alle die Behandlung erhalten?**

- Die Studienteilnehmer zeigten möglicherweise eine „**klinische Remission**“, d. h., die Colitis ulcerosa verursachte keine wesentlichen Symptome oder Anzeichen mehr.
- Nur Personen ohne klinische Remission durften die Studienbehandlung erhalten.
- Die klinische Remission konnte bei den Teilnehmern zu Beginn der Studie – oder zu einem beliebigen Zeitpunkt während der Studie – vorhanden sein.
- Die Forscher untersuchten die Teilnehmer zu verschiedenen Zeitpunkten während der Studie, um festzustellen, ob sie eine klinische Remission erreicht hatten.

**Worum handelte es sich bei der Behandlung?**

- Die Studienteilnehmer erhielten Efmardocokin alfa in einer Dosis von 60 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht (60 µg/kg), die einmal alle 4 Wochen verabreicht wurde. Diese wurde im Prüfzentrum intravenös – über einen Infusionsschlauch in eine Vene – verabreicht.

**Wie lange dauerte die Behandlung?**

- Die Forscher planten, die Teilnehmer an dieser Studie etwa zwei Jahre lang zu beobachten – bis Woche 104.
- Die Behandlung konnte jederzeit abgebrochen werden, wenn:
  - es zu einer klinischen Remission kam
  - sich die Krankheit verschlechterte
  - der Sponsor, die Forscher oder die Studienteilnehmer beschlossen, die Behandlung abzubrechen

Die Studie wurde vorzeitig abgebrochen, weil der Sponsor beschloss, die Entwicklung von Efmardocokin alfa für Colitis ulcerosa einzustellen. Nach der letzten Behandlung wurden die Teilnehmer gebeten, für weitere Besuchstermine in ihr Prüfzentrum zurückzukehren, um ihren allgemeinen Gesundheitszustand überprüfen zu lassen.

## 4. Was waren die Ergebnisse der Studie?

Von den 128 Personen, die mindestens eine Dosis der Studienbehandlung erhielten, schlossen 28 Personen (22 %) die Studie ab.

Einhundert Personen brachen die Studienbehandlung ab. Der Hauptgrund war „mangelnde Wirksamkeit“, was bedeutet, dass das Medikament nicht nützlich war. Dies war bei 53 Personen (41 %) der Fall. Weitere 21 Personen brachen die Studienbehandlung ab, weil der Sponsor die Studie abbrach.

### Frage 1: Wie sicher war die langfristige Anwendung von Efmardocokin alfa?

Die Forscher untersuchten, welche Nebenwirkungen die Studienbehandlung hatte. Sie untersuchten die Studienteilnehmer im Prüfzentrum. Sie stellten Fragen und entnahmen Blutproben für Laboruntersuchungen.

Die Ergebnisse dieser Studie zeigten, dass die Nebenwirkungen von Efmardocokin alfa ein annehmbares Niveau hatten. Die Studienteilnehmer vertrugen Efmardocokin alfa in einem annehmbaren Maß.

- Bei einer Person (1 %) trat eine schwerwiegende Nebenwirkung auf, die nach Ansicht der Forscher durch die Studienbehandlung verursacht wurde.
- Bei dreiundvierzig Personen (34 %) traten nicht schwerwiegende Nebenwirkungen auf, von denen die Forscher annahmen, dass sie durch die Studienbehandlung verursacht wurden.

Dieser Abschnitt zeigt nur die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie. Informationen zu allen anderen Ergebnissen finden Sie auf den Websites am Ende dieser Zusammenfassung (siehe Abschnitt 8).

## 5. Was waren die Nebenwirkungen?

Nebenwirkungen sind medizinische Probleme (wie etwa Schwindelgefühl), die während der Studie auftraten.

- Sie werden in dieser Zusammenfassung beschrieben, wenn der Prüfarzt der Meinung war, dass die Nebenwirkungen im Zusammenhang mit den Behandlungen in der Studie standen.
- In keiner Studie treten alle Nebenwirkungen bei allen Personen auf.
- Nebenwirkungen können leicht bis sehr schwerwiegend sein und sich von Person zu Person unterscheiden.
- Es ist wichtig, daran zu denken, dass die hier berichteten Nebenwirkungen aus dieser Einzelstudie stammen. Daher können die hier aufgeführten Nebenwirkungen sich von denen in anderen Studien oder den in der Packungsbeilage beschriebenen Nebenwirkungen unterscheiden.
- Wenn in dieser Studie schwerwiegende und häufige Nebenwirkungen aufgetreten sind, werden sie in den folgenden Abschnitten aufgeführt.

### Schwerwiegende Nebenwirkungen

Eine Nebenwirkung wird als „schwerwiegend“ angesehen, wenn sie lebensbedrohlich ist, eine Krankenhausversorgung erforderlich macht oder zu anhaltenden Problemen führt.

Während der Studie hatte eine Person (1 %) schwerwiegende Nebenwirkungen, von denen angenommen wurde, dass sie durch die Studienbehandlung verursacht wurden. Die Person hatte einen Anstieg bei zwei verschiedenen Blutproteinwerten, wie in den Bluttestergebnissen angezeigt wurde (Amylase- und Lipaseanstieg). Die Nebenwirkungen deuteten darauf hin, dass ein Problem in der Bauchspeicheldrüse vorlag. Die Nebenwirkungen verschwanden während der Studie (lösten sich auf).

Keiner der Studienteilnehmer starb aufgrund von Nebenwirkungen, die möglicherweise mit den Studienmedikamenten im Zusammenhang standen.

Während der Studie beschlossen zwei Personen (2 %) aufgrund von Nebenwirkungen, von denen angenommen wurde, dass sie durch dieses Prüfpräparat verursacht wurden, die Behandlung mit Efmardocokin alfa abzubrechen.

### Häufigste Nebenwirkungen

---

Während dieser Studie hatten 43 Personen (34 %) eine Nebenwirkung, die nicht schwerwiegend war, von der aber angenommen wurde, dass sie durch die Studienbehandlung verursacht wurde.

In der folgenden Tabelle sind die häufigsten Nebenwirkungen, die bei mindestens 2 Personen auftraten, aufgeführt. Einige Personen hatten mehr als eine Nebenwirkung, d. h., sie sind in mehr als einer Zeile in der Tabelle vertreten.

Häufige Nebenwirkungen	Anzahl der Personen mit Nebenwirkung
Trockene Haut	30 Personen (23 %)
Juckende Haut (Pruritus)	7 Personen (6 %)
Abschälen der Haut (Exfoliation)	1 Person (2 %)
Trockene Lippen	4 Personen (3 %)
Erhöhter Proteingehalt im Blut (erhöhte Alanin-Aminotransferase)	2 Personen (2 %)
Erhöhter Proteingehalt im Blut (erhöhte Lipase)	2 Personen (2 %)
Fieber (Pyrexie)	2 Personen (2 %)
Trockene Augen, trockene Schleimhäute oder Haut (Xerose)	2 Personen (2 %)
Kopfschmerzen	2 Personen (2 %)

### Andere Nebenwirkungen

---

Informationen über andere (nicht in den obigen Abschnitten aufgeführte) Nebenwirkungen finden Sie auf den am Ende dieser Zusammenfassung aufgeführten Websites – siehe Abschnitt 8.

## 6. Wie hat diese Studie die Forschung unterstützt?

Die hier aufgeführten Informationen stammen aus einer Einzelstudie mit 128 Personen mit CU. Diese Ergebnisse halfen Forschern, mehr über CU und Efmardocokin Alfa zu erfahren.

Es traten schwerwiegende und nicht schwerwiegende Nebenwirkungen auf, von denen angenommen wurde, dass sie durch Efmardocokin alfa verursacht wurden. Die Nebenwirkungen hatten ein annehmbares Niveau. Die Studienteilnehmer vertrugen Efmardocokin alfa in einem annehmbaren Maß.

Die Studie wurde vorzeitig abgebrochen, weil der Sponsor beschloss, Efmardocokin alfa für Colitis ulcerosa nicht weiter zu entwickeln. Das untersuchte Medikament wirkte nicht so gut gegen Colitis ulcerosa wie erwartet.

Keine einzelne Studie kann über alle Risiken und Vorteile eines Medikaments informieren. Es sind viele Personen in verschiedenen Studien erforderlich, um alles herauszufinden, was wir wissen müssen. Die Ergebnisse dieser Studie können sich von denen anderer Studien mit demselben Medikament unterscheiden.

- **Dies bedeutet, dass Sie nicht aufgrund dieser einen Zusammenfassung Entscheidungen treffen sollten.**
- **Sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt, bevor Sie eine Entscheidung über Ihre Behandlung treffen.**

## 7. Sind andere Studien geplant?

Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung waren keine weiteren Studien zur Untersuchung von Efmardocokin alfa als Einzelwirkstoff für Colitis ulcerosa geplant.

## 8. Wo finde ich weitere Informationen?

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auf den unten aufgeführten Websites:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03650413>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2017-004997-32/results>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/ulcerative-colitis/an-extension-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-37359.html>

### An wen kann ich mich wenden, wenn ich Fragen zu dieser Studie habe?

Wenn Sie nach dem Lesen dieser Zusammenfassung weitere Fragen haben:

- Besuchen Sie die Plattform ForPatients unter <https://forpatients.roche.com/en/About.html> und füllen Sie das Kontaktformular aus.
- Kontaktieren Sie einen Vertreter in Ihrer örtlichen Roche-Niederlassung.

Wenn Sie an dieser Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen haben:

- Sprechen Sie mit dem Prüfarzt oder dem Studienpersonal im Krankenhaus oder in der Klinik.



Wenn Sie Fragen zu Ihrer eigenen Behandlung haben:

- Sprechen Sie mit dem für Ihre Behandlung zuständigen Arzt.

### **Wer hat diese Studie in Auftrag gegeben und bezahlt?**

Diese Studie wurde von Genentech, Inc., South San Francisco, CA, USA in Auftrag gegeben und bezahlt. Genentech ist Teil von F. Hoffmann-La Roche Ltd., mit Hauptsitz in Basel, Schweiz.

### **Vollständiger Titel der Studie und andere identifizierende Informationen**

Der vollständige Titel dieser Studie lautet:

Eine offene Phase-II-Verlängerungsstudie zur Untersuchung der langfristigen Sicherheit und Verträglichkeit von UTTR1147A bei Patienten mit mittelschwerer bis schwerer Colitis ulcerosa oder Morbus Crohn

- Die Studie ist unter dem Namen „SERENGETI“ bekannt.
- Die Prüfplannummer dieser Studie lautet GA40209.
- Die Clinicaltrials.gov-Kennung dieser Studie lautet NCT03650413.
- Die EudraCT-Nummer dieser Studie lautet 2017-004997-32.