

## Riepilogo dei risultati della sperimentazione clinica

### Studio per valutare la sicurezza a lungo termine di un farmaco, efmardocokin alfa, in persone affette da colite ulcerosa

Vedere la fine del riepilogo per il titolo completo dello studio.

#### Informazioni sul presente riepilogo

Si tratta di un riepilogo dei risultati di una sperimentazione clinica (chiamata “studio” nel presente documento).

Il presente riepilogo è stato redatto per:

- Membri del pubblico
- Persone che hanno partecipato allo studio

Il presente riepilogo è basato sulle informazioni note al momento della stesura.

Lo studio è iniziato a gennaio 2019 ed è terminato a luglio 2022. Questo riepilogo è stato scritto dopo il termine dello studio.

Nessun singolo studio può informarci in maniera completa circa i rischi e i benefici di un farmaco. Sono necessarie molte persone che partecipano a numerosi studi per scoprire tutto ciò che dobbiamo sapere. I risultati derivanti da questo studio potrebbero essere diversi da altri studi con il medesimo farmaco.

- **Ciò significa che Lei non deve prendere decisioni basate sul presente riepilogo**
- **Si rivolga sempre al Suo medico prima di prendere qualsiasi decisione in merito al Suo trattamento**

#### Contenuto del riepilogo

1. Informazioni generali su questo studio
2. Chi ha preso parte a questo studio?
3. Cosa è successo durante lo studio?
4. Quali sono stati i risultati dello studio?
5. Quali sono stati gli effetti collaterali?
6. In che modo questo studio ha contribuito alla ricerca?
7. Sono in programma altri studi?
8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

#### Ringraziamo le persone che hanno preso parte a questo studio

Le persone che hanno partecipato hanno aiutato i ricercatori a rispondere a importanti domande sulla colite ulcerosa e su efmardocokin alfa, il farmaco dello studio.

## Principali informazioni su questo studio

- Questo studio è stato condotto per scoprire se il farmaco dello studio è sicuro e può essere tollerato quando usato a lungo termine.
- A tutti i partecipanti a questo studio è stata somministrata la stessa dose del farmaco dello studio, efmarodocokin alfa.
- Questo studio ha incluso 128 persone in 14 Paesi.
- Il risultato principale è stato che gli effetti collaterali di efmarodocokin alfa erano a un livello accettabile.
- Una persona (1%) ha manifestato un effetto collaterale grave causato dal farmaco dello studio.
- Quarantatré persone (34%) hanno manifestato effetti collaterali non gravi ma che si ritiene siano stati causati dal farmaco dello studio.
- Questo studio è stato interrotto anticipatamente perché il farmaco oggetto di studio non ha funzionato come previsto per la CU.

## 1. Informazioni generali su questo studio

### Perché è stato condotto questo studio?

La colite ulcerosa (CU) colpisce il colon. È un esempio di malattia infiammatoria intestinale, in cui l'infiammazione dura a lungo termine.

La CU è associata a sanguinamento attraverso il retto, mal di stomaco, diarrea e diarrea sanguinolenta. Sono disponibili molti farmaci per il trattamento della CU, alcuni dei quali sono corticosteroidi, immunosoppressori (azatioprina, 6-mercaptopurina e metotrexato), anti-fattore di necrosi tumorale (TNF) e terapia anti-integrina.

Molti dei farmaci agiscono sopprimendo il sistema immunitario. Sebbene ciò sia utile per il controllo della CU, purtroppo le persone possono manifestare effetti collaterali a causa di un sistema immunitario soppresso.

I ricercatori stanno lavorando per trovare farmaci più sicuri che non sopprimono il sistema immunitario. I farmaci che possono arrestare il peggioramento della malattia saranno particolarmente utili, evitando che i pazienti abbiano bisogno di un intervento chirurgico.

Efmarodocokin alfa è un nuovo farmaco attualmente oggetto di esame. È stato somministrato a persone con CU in altri studi. Non sopprime il sistema immunitario.

Questo studio è stato condotto per scoprire quanto fosse sicuro per le persone utilizzare efmarodocokin alfa a lungo termine. Per questo studio sono state arruolate persone che avevano già utilizzato efmarodocokin alfa per un breve periodo di tempo in un altro studio.

### Qual era il farmaco dello studio?

Un farmaco chiamato "efmarodocokin alfa" è stato al centro di questo studio.

- Questo farmaco è noto anche come "UTTR1147A".
- Efmarodocokin alfa è un farmaco prodotto collegando (fondendo) due proteine diverse, una delle quali si chiama IL22, che possiede proprietà antinfiammatorie.
- Efmarodocokin alfa viene attualmente esaminato per scoprire se potrebbe essere utile per le persone affette da CU.

## Cosa volevano scoprire i ricercatori?

---

I ricercatori avevano precedentemente condotto uno studio per confrontare efmardocokin alfa con un farmaco esistente (vedolizumab) e un placebo.

Molte persone dello studio precedente sono entrate nello studio attuale, dopo la conclusione dello studio precedente.

**La domanda principale alla quale i ricercatori desideravano trovare una risposta era:**

1. Quanto è stato sicuro utilizzare efmardocokin alfa a lungo termine?

## Di che tipo di studio si trattava?

---

Si è trattato di uno **studio di estensione in aperto**.

I ricercatori e le persone coinvolte nello studio (i **partecipanti allo studio**) sapevano quale trattamento stavano ricevendo i partecipanti allo studio in questo studio. Poiché tutti lo sapevano, parliamo di uno "**studio in aperto**".

I ricercatori avevano esaminato la sicurezza di efmardocokin alfa in persone affette da CU in uno studio precedente. L'attuale studio era uno "**studio di estensione**" perché i ricercatori desideravano continuare a osservare gli effetti di efmardocokin alfa nelle persone dello studio precedente. Le persone dello studio precedente (GA39925) si sono unite a questo studio (GA40209).

## Quando e dove si è svolto lo studio?

---

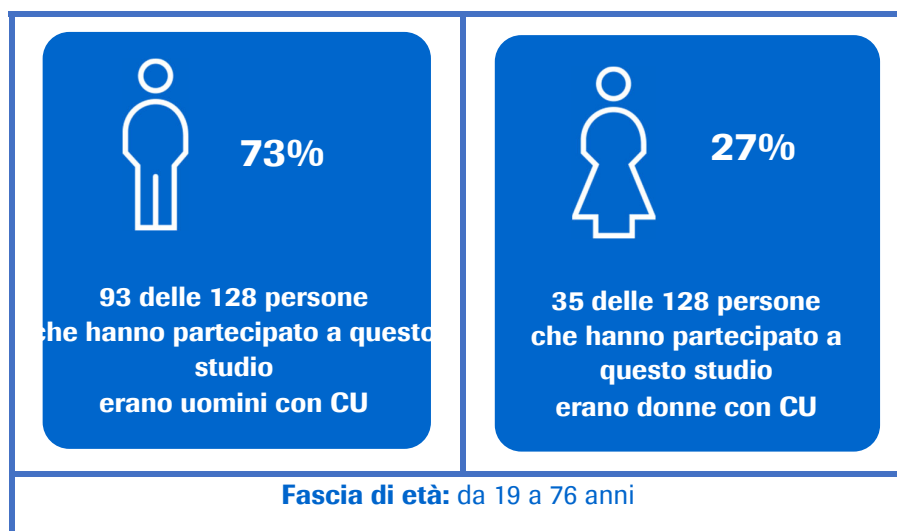
Lo studio è iniziato a gennaio 2019 ed è terminato a luglio 2022. Questo riepilogo è stato scritto dopo il termine dello studio.

Lo studio si è svolto presso 66 centri dello studio, in 14 Paesi:

- Polonia (17 centri di studio)
- Ucraina (17 centri di studio)
- Serbia (7 centri di studio)
- Germania (5 centri di studio)
- Russia (5 centri di studio)
- Italia (4 centri di studio)
- Grecia (3 centri di studio)
- Bulgaria (2 centri di studio)
- Georgia (1 centro di studio)
- Irlanda (1 centro di studio)
- Moldavia (1 centro di studio)
- Spagna (1 centro di studio)
- Regno Unito (1 centro di studio)
- Stati Uniti (1 centro di studio)

## 2. Chi ha preso parte a questo studio?

Centoventotto persone con CU hanno ricevuto almeno una dose del farmaco dello studio.



**Le persone hanno potuto partecipare allo studio se soddisfacevano tutte le seguenti condizioni:**

- Avevano partecipato a un precedente studio per emarodocokin alfa (Studio GA39925).
- Erano in grado di soddisfare i requisiti dello studio attuale. Uno dei requisiti era l'uso di metodi contraccettivi durante l'assunzione del farmaco dello studio.

**Le persone non potevano partecipare allo studio se soddisfacevano una qualsiasi delle seguenti condizioni:**

- Soddisfacevano delle condizioni che richiedevano l'interruzione della somministrazione del trattamento dello studio nello studio precedente.
- Hanno interrotto il trattamento dello studio e si sono ritirate dal precedente studio (GA39925), prima che potessero diventare idonee per questo studio.
- Non hanno seguito quanto richiesto dallo studio GA39925. Ad esempio,
  - non si sono recate al centro dello studio alla data programmata
  - non hanno seguito il calendario di assunzione dei farmaci necessari
- Erano donne in stato di gravidanza o in fase di allattamento, oppure che avevano intenzione di rimanere incinte entro un determinato periodo di tempo dopo il trattamento dello studio.
- Hanno presentato cambiamenti nello stato di salute dopo aver preso parte allo studio GA39925.
- Hanno fatto uso di terapie non consentite in questo studio.

### 3. Cosa è successo durante lo studio?

#### Tutti hanno ricevuto il trattamento?

- Le persone in questo studio potevano mostrare "**remissione clinica**", quando la CU non causava alcun sintomo o segno importante.
- Solo alle persone senza remissione clinica è stato concesso di ricevere il trattamento dello studio.
- La remissione clinica poteva essere presente nelle persone all'inizio di questo studio o in qualsiasi momento durante lo studio.
- I ricercatori hanno visto le persone in momenti diversi durante lo studio, per vedere se avevano raggiunto la remissione clinica.

#### Qual è stato il trattamento?

- Le persone in questo studio hanno ricevuto efmardocokin alfa a una dose di 60 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo (60 µg/kg), somministrato una volta ogni 4 settimane. Il farmaco è stato somministrato per via endovenosa (EV) (cioè attraverso un tubo EV inserito in una vena) presso il centro dello studio.

#### Quanto è durato il trattamento?

- I ricercatori avevano previsto di osservare le persone in questo studio per circa due anni, fino alla Settimana 104.
- Il trattamento poteva essere interrotto in qualsiasi momento se:
  - c'era remissione clinica
  - la malattia era peggiorata
  - lo sponsor, i ricercatori o i partecipanti dello studio decidevano di interrompere il trattamento

Lo studio è stato interrotto anticipatamente perché lo sponsor ha deciso di interrompere lo sviluppo di efmardocokin alfa per la CU. Dopo che le persone hanno ricevuto gli ultimi trattamenti, è stato chiesto loro di tornare al centro dello studio per ulteriori visite, allo scopo di controllare il loro stato di salute generale.

### 4. Quali sono stati i risultati dello studio?

Su 128 persone che hanno ricevuto almeno una dose del trattamento dello studio, 28 persone (22%) hanno completato lo studio.

Cento persone hanno interrotto il trattamento dello studio. Il motivo principale dell'interruzione è stata la "mancanza di efficacia", il che significa che il farmaco non è stato utile. Questo è stato il caso di 53 persone (41%). Altre 21 persone hanno interrotto il trattamento dello studio perché lo sponsor ha interrotto lo studio.

#### Domanda 1: Quanto è stato sicuro utilizzare efmardocokin alfa a lungo termine?

I ricercatori hanno cercato gli effetti collaterali derivanti dal trattamento dello studio. Hanno esaminato i partecipanti allo studio presso il centro dello studio. Hanno posto domande e raccolto campioni di sangue per gli esami di laboratorio.

I risultati di questo studio hanno dimostrato che gli effetti collaterali di efmardocokin alfa erano a un livello accettabile. Le persone nello studio hanno tollerato efmardocokin alfa a un livello accettabile.

- Una persona (1%) ha manifestato un effetto collaterale grave che i ricercatori hanno ritenuto causato dal trattamento dello studio.
- Quarantatré persone (34%) hanno manifestato effetti collaterali non gravi che i ricercatori hanno ritenuto causati dal trattamento dello studio.

Questa sezione mostra solo i risultati principali di questo studio. Si possono trovare informazioni su tutti gli altri risultati sui siti Web alla fine di questo riepilogo (vedere Sezione 8).

## 5. Quali sono stati gli effetti collaterali?

Gli effetti collaterali sono problemi medici (come la sensazione di capogiro) che si sono verificati durante lo studio.

- Saranno descritti in questo riepilogo se il medico dello studio ha ritenuto che tali effetti collaterali fossero correlati ai trattamenti dello studio.
- In uno studio non tutte le persone manifestano tutti gli effetti collaterali.
- Gli effetti collaterali possono essere da lievi a molto gravi e possono variare da persona a persona.
- È importante sapere che gli effetti collaterali qui riportati provengono da questo singolo studio. Pertanto, gli effetti collaterali qui mostrati possono essere diversi da quelli osservati in altri studi o che compaiono sul foglio illustrativo del farmaco.
- Se in questo studio sono stati osservati effetti collaterali gravi e comuni, questi saranno elencati nelle sezioni seguenti.

### Effetti collaterali gravi

Un effetto collaterale è considerato “grave” se pericoloso per la vita, richiede cure ospedaliere o causa problemi duraturi.

Durante lo studio, una persona (1%) ha manifestato un effetto collaterale grave che i medici dello studio hanno ritenuto causato dal trattamento dello studio. Questa persona ha manifestato un aumento di due diversi valori di proteine nel sangue, in base a quanto mostrato nei risultati delle analisi del sangue (aumento delle amilasi e aumento delle lipasi). Gli effetti collaterali hanno suggerito la presenza di un problema al pancreas. Gli effetti collaterali sono scomparsi (si sono risolti) durante lo studio.

Nessuno in questo studio è deceduto a causa di effetti collaterali che potrebbero essere correlati ai farmaci dello studio.

Durante lo studio, due persone (2%) hanno deciso di interrompere il trattamento con efmarodocokin alfa a causa degli effetti collaterali che si ritengono causati da questo farmaco dello studio.

### Effetti collaterali più comuni

Durante questo studio, 43 persone (34%) hanno manifestato un effetto collaterale che non era grave, ma che si ritiene sia stato causato dal trattamento dello studio.

Gli effetti collaterali più comuni (cioè, che si sono verificati in due o più persone) sono illustrati nella tabella seguente. Alcune persone hanno manifestato più di un effetto collaterale; ciò significa che sono incluse in più di una riga nella tabella.

<b>Effetti collaterali comuni</b>	<b>Numero di persone con effetti collaterali</b>
Pelle secca	30 persone (23%)
Pelle pruriginosa (prurito)	7 persone (6%)
Desquamazione della pelle (esfoliazione)	1 persona (2%)
Labbro secco	4 persone (3%)
Aumento delle proteine nel sangue (aumento dell'alanina aminotransferasi)	2 persone (2%)
Aumento delle proteine nel sangue (aumento delle lipasi)	2 persone (2%)
Febbre (piressia)	2 persone (2%)
Secchezza degli occhi, delle membrane mucose o della pelle (xerosi)	2 persone (2%)
Mal di testa	2 persone (2%)

### **Altri effetti collaterali**

Si possono trovare informazioni su altri effetti collaterali (non mostrati nelle sezioni precedenti) sui siti Web elencati alla fine di questo riepilogo; si consulti la Sezione 8.

## **6. In che modo questo studio ha contribuito alla ricerca?**

Le informazioni qui presentate provengono da un singolo studio su 128 persone affette da CU. Questi risultati hanno aiutato i ricercatori a saperne di più sulla CU e su efmardocokin alfa.

Si sono verificati effetti collaterali gravi e non gravi, in entrambi i casi ritenuti causati da efmardocokin alfa. Gli effetti collaterali sono stati a un livello accettabile. Le persone nello studio hanno tollerato efmardocokin alfa a un livello accettabile.

Lo studio è stato interrotto anticipatamente perché lo sponsor ha deciso di non sviluppare efmardocokin alfa per la CU. Il farmaco oggetto di studio non ha funzionato come previsto per la CU.

Nessun singolo studio può informarci in maniera completa circa i rischi e i benefici di un farmaco. Sono necessarie molte persone che partecipano a numerosi studi per scoprire tutto ciò che dobbiamo sapere. I risultati derivanti da questo studio potrebbero essere diversi da altri studi con il medesimo farmaco.

- **Ciò significa che Lei non deve prendere decisioni basate sul presente riepilogo**
- **Si rivolga sempre al Suo medico prima di prendere qualsiasi decisione in merito al Suo trattamento**

## 7. Sono in programma altri studi?

Al momento della stesura di questo riepilogo, non sono stati pianificati ulteriori studi su efmardocokin alfa come singolo agente per la colite ulcerosa.

## 8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

Ulteriori informazioni su questo studio sono disponibili sui siti web elencati di seguito:

<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>

## Chi posso contattare se ho domande riguardo a questo studio?

Se ha ulteriori domande dopo aver letto questo riepilogo:

- Visiti la piattaforma ForPatients e compilare il modulo di contatto – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Contatti un rappresentante presso la sede Roche locale.

Se Lei ha partecipato a questo studio e ha eventuali domande circa i risultati:

- parli con il medico o il personale dello studio presso l'ospedale o la clinica dello studio.

Se ha domande sul Suo trattamento:

- Parli con il medico responsabile del Suo trattamento.

## Chi ha organizzato e finanziato questo studio?

Questo studio è stato organizzato e finanziato da Genentech, Inc., South San Francisco, CA, Stati Uniti. Genentech è parte di F. Hoffmann-La Roche Ltd., con sede a Basilea, Svizzera.

## Titolo completo dello studio e altre informazioni identificative

Il titolo completo dello studio è:

Studio di estensione in aperto di fase 2 per valutare la sicurezza e la tollerabilità a lungo termine di UTTR1147A in pazienti con malattia di Crohn o colite ulcerosa da moderata a grave

- Lo studio è noto come "SERENGETI".
- Il numero di protocollo per questo studio è GA40209.
- Il codice identificativo di ClinicalTrials.gov per questo studio è NCT03650413.
- Il numero EudraCT per questo studio è 2017-004997-32.