

## Rezumatul rezultatelor studiului clinic

### Un studiu pentru evaluarea siguranței pe termen lung a unui medicament, efmardocokin alfa, la persoanele cu colită ulcerativă

A se vedea sfârșitul rezumatului pentru titlul complet al studiului.

#### Despre acest rezumat

Acesta este un rezumat al rezultatelor unui studiu clinic (denumit „studiu” în acest document).

Acest rezumat este redactat pentru:

- Membrii publicului
- Persoanele care au participat la studiu

Acest rezumat se bazează pe informațiile cunoscute la momentul redactării.

Studiul a început în ianuarie 2019 și s-a încheiat în iulie 2022. Rezumatul a fost redactat după încheierea studiului.

Un singur studiu nu este niciodată suficient pentru a ne spune totul despre riscurile și beneficiile unui medicament. Este nevoie de participarea multor persoane, în diferite studii, pentru a afla tot ce avem nevoie să știm. Rezultatele din acest studiu pot fi diferite față de cele din alte studii cu același medicament.

- **Acest lucru înseamnă că nu trebuie să luați decizii pe baza acestui rezumat unic**
- **Discutați întotdeauna cu medicul dumneavoastră înainte de a lua decizii privind tratamentul dumneavoastră**

#### Cuprinsul rezumatului

1. Informații generale despre acest studiu
2. Cine a participat la acest studiu?
3. Ce s-a întâmplat în timpul studiului?
4. Care au fost rezultatele studiului?
5. Care au fost reacțiile adverse?
6. Cum a contribuit acest studiu la cercetare?
7. Sunt planificate alte studii?
8. Unde pot găsi mai multe informații?

#### Le mulțumim persoanelor care au participat la acest studiu

Persoanele care au participat au ajutat investigatorii să răspundă la întrebări importante despre colita ulcerativă și efmardocokin alfa, medicamentul de studiu.

## Principalele informații despre acest studiu

- Acest studiu a fost desfășurat pentru a afla dacă medicamentul de studiu a fost sigur și ar putea fi tolerat atunci când a fost utilizat pe termen lung.
- Toți participanții la acest studiu au primit aceeași doză din medicamentul de studiu, efmardocokin alfa.
- Acest studiu a inclus 128 de persoane din 14 țări.
- Principala constatare a fost că efectele secundare ale efmardocokin alfa au fost la un nivel acceptabil.
- O persoană (1%) a avut o reacție adversă gravă cauzată de medicamentul de studiu.
- Patruzeci și trei de persoane (34%) au avut reacții adverse care nu au fost grave, dar s-a considerat că sunt cauzate de medicamentul de studiu.
- Acest studiu a fost încetat prematur, deoarece medicamentul studiat nu a funcționat așa cum s-a preconizat pentru colita ulcerativă.

## 1. Informații generale despre acest studiu

### De ce s-a realizat acest studiu?

Colita ulcerativă (CU) afectează colonul. Este un exemplu de boală inflamatorie intestinală (BII), în care inflamația durează pe termen lung.

CU este asociată cu sângerare prin rect, dureri de stomac, diaree și diaree cu sânge. Sunt disponibile multe medicamente pentru tratarea CU – dintre care unele sunt corticosteroizii, imunosupresoarele (azatioprină, 6-mercaptopurină și metotrexat), factorul de necroză antitumorală (TNF) și terapia anti-integrină.

Câteva dintre medicamente acționează prin suprimarea sistemului imunitar. Deși acest lucru este util pentru controlul CU, din păcate, oamenii pot avea reacții adverse ca urmare a unui sistem imunitar suprimat.

Investigatorii încearcă să găsească medicamente mai sigure, care nu suprimă sistemul imunitar. Medicamentele care pot opri agravarea bolii vor fi deosebit de utile, astfel încât pacienții să nu necesite intervenție chirurgicală.

Efmardocokin alfa este un medicament nou în curs de testare. Acesta a fost administrat persoanelor cu CU în alte studii. Acesta nu suprimă sistemul imunitar.

Acest studiu a fost efectuat pentru a afla cât de sigur a fost – pentru ca oamenii să utilizeze efmardocokin alfa pe termen lung. Acest studiu a înrolat persoane care au utilizat deja efmardocokin alfa pe termen scurt într-un alt studiu.

### Care a fost medicamentul de studiu?

Un medicament numit „efmardocokin alfa” a fost punctul central al acestui studiu.

- Acest medicament este numit și „UTTR1147A”.
- Efmardocokin alfa este un medicament produs prin conectarea (fuzionarea) a două proteine diferite – dintre care una este IL22 – care are proprietăți antiinflamatorii.
- Efmardocokin este testat pentru a afla dacă ar putea fi util pentru persoanele cu CU.

## Ce au vrut să afle investigatorii?

---

Investigatorii au efectuat anterior un studiu pentru compararea efmarodocokin alfa cu un medicament existent (vedolizumab) și cu placebo.

Multe persoane din studiul anterior s-au alăturat studiului curent – după încheierea studiului anterior.

### Principala întrebare la care au vrut să afle răspuns investigatorii a fost:

1. Cât de sigur a fost să utilizați efmarodocokin alfa pe termen lung?

## Ce fel de studiu a fost acesta?

---

Acesta a fost un **studiu-extensie în regim deschis**.

Investigatorii și persoanele din studiu (**participanții la studiu**) știau ce tratament primeau participanții la studiu în cadrul acestui studiu. Pentru că toată lumea știa, acest lucru l-a făcut un „**studiu deschis**”.

Investigatorii au analizat siguranța efmarodocokin alfa la persoanele cu CU într-un studiu anterior. Studiul actual a fost un „**studiu-extensie**”, deoarece investigatorii au dorit să continue să analizeze efectele efmarodocokin alfa la persoanele din studiul anterior. Persoanele din studiul anterior (GA39925) s-au alăturat acestui studiu (GA40209).

## Când și unde a avut loc studiul?

---

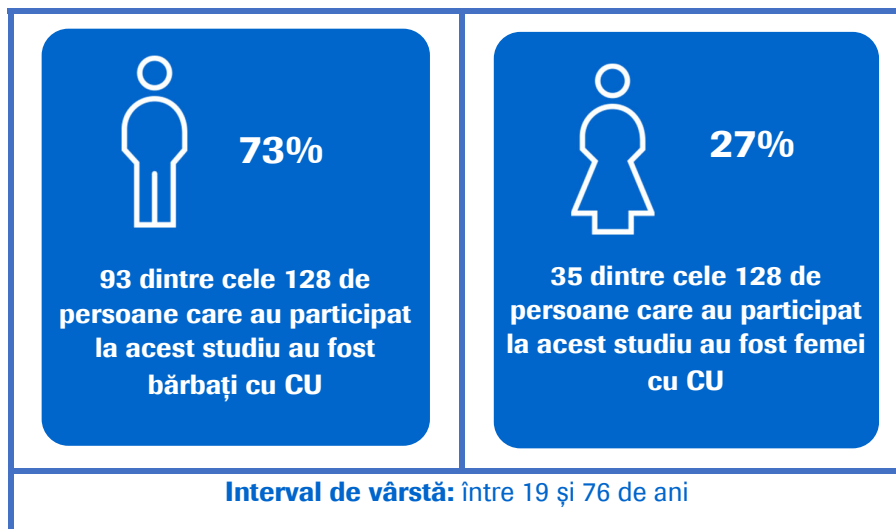
Studiul a început în ianuarie 2019 și s-a încheiat în iulie 2022. Rezumatul a fost redactat după încheierea studiului.

Studiul a avut loc în 66 de centre de studiu din 14 țări:

- Polonia (17 centre de studiu)
- Ucraina (17 centre de studiu)
- Serbia (7 centre de studiu)
- Germania (5 centre de studiu)
- Rusia (5 centre de studiu)
- Italia (4 centre de studiu)
- Grecia (3 centre de studiu)
- Bulgaria (2 centre de studiu)
- Georgia (1 centru de studiu)
- Irlanda (1 centru de studiu)
- Moldova (1 centru de studiu)
- Spania (1 centru de studiu)
- Regatul Unit (1 centru de studiu)
- Statele Unite (1 centru de studiu)

## 2. Cine a participat la acest studiu?

O sută douăzeci și opt de persoane cu CU au primit cel puțin o doză de medicament de studiu.



**Persoanele au putut participa la studiu dacă îndeplineau toate condițiile următoare:**

- Au participat la un studiu anterior pentru efmardocokin alfa – Studiul GA39925.
- Au reușit să îndeplinească cerințele studiului curent. Una dintre cerințe a fost utilizarea metodelor de contracepție în timp ce luau medicamentul de studiu.

**Persoanele nu au putut participa la studiu dacă îndeplineau oricare dintre următoarele condiții:**

- Au îndeplinit condițiile pentru oprirea tratamentului de studiu în studiul anterior.
- Au oprit tratamentul de studiu și s-au retras din studiul anterior (GA39925) – înainte de a putea deveni eligibile pentru acest studiu.
- Nu au respectat ceea ce li s-a cerut în studiul GA39925. De exemplu,
  - nu au vizitat centrul de studiu la data programată
  - nu au ținut pasul cu administrarea medicamentelor necesare
- Erau femei însărcinate sau care alăptează, ori intenționau să rămână însărcinate într-o anumită perioadă după tratamentul de studiu.
- Orice modificare a stării de sănătate a unei persoane după intrarea în studiul GA39925.
- Utilizarea terapierilor nepermise în acest studiu.

### 3. Ce s-a întâmplat în timpul studiului?

#### Toată lumea a primit tratamentul?

- Persoanele din acest studiu puteau prezenta „**remisiune clinică**” – atunci când boala CU nu cauza simptome sau semne majore.
- Numai persoanelor fără remisiune clinică li s-a permis să primească tratamentul de studiu.
- Remisiunea clinică putea fi prezentă la persoane la începutul acestui studiu – sau în orice moment pe parcursul studiului.
- Investigatorii au consultat persoanele la diferite momente în timpul studiului pentru a afla dacă au obținut remisiunea clinică.

#### Care a fost tratamentul?

- Persoanele din acest studiu au primit efmardocokin alfa în doză de 60 micrograme per kilogram de greutate corporală (60 µg/kg), administrat o dată la 4 săptămâni. Acesta a fost administrat intravenos – printr-un tub intravenos într-o venă – la centrul de studiu.

#### Cât timp a durat tratamentul?

- Investigatorii au planificat să țină sub observație persoanele din acest studiu timp de aproximativ doi ani – până în săptămâna 104.
- Tratamentul putea fi oprit în orice moment dacă:
  - a existat remisiune clinică
  - boala s-a agravat
  - sponsorul, investigatorii sau persoanele din studiu au decis să oprească tratamentul

Studiul s-a oprit prematur deoarece sponsorul a decis să oprească dezvoltarea efmardocokin alfa pentru CU. După ce persoanelor li s-au administrat ultimele tratamente, li s-a cerut să revină la centrul de studiu pentru mai multe vizite pentru a verifica starea lor generală de sănătate.

### 4. Care au fost rezultatele studiului?

Din 128 de persoane cărora li s-a administrat cel puțin o doză de tratament de studiu, 28 de persoane (22%) au finalizat studiul.

O sută de persoane au oprit tratamentul de studiu. Motivul principal a fost „lipsa eficacității”, ceea ce înseamnă că medicamentul nu a fost util. Acest lucru a fost valabil pentru 53 de persoane (41%). Alte 21 de persoane au oprit tratamentul de studiu deoarece sponsorul a oprit studiul.

#### Întrebarea 1: Cât de sigur a fost să utilizați efmardocokin alfa pe termen lung?

Investigatorii au căutat reacțiile adverse care rezultă din tratamentul de studiu. Aceștia au examinat participanții la studiu la centrul de studiu. Aceștia au pus întrebări și au recoltat probe de sânge pentru analize de laborator.

Rezultatele acestui studiu au arătat că efectele secundare ale efmardocokin alfa au fost la un nivel acceptabil. Persoanele din studiu au tolerat efmardocokin alfa la un nivel acceptabil.

- O persoană (1%) a manifestat o reacție adversă gravă, despre care investigatorii au considerat că a fost cauzată de tratamentul de studiu.
- Patruzeci și trei de persoane (34%) au prezentat reacții adverse non-grave, despre care investigatorii au considerat că au fost cauzate de tratamentul de studiu.

Această secțiune prezintă numai rezultatele cheie din acest studiu. Puteți găsi informații despre toate celelalte rezultate pe site-urile web de la sfârșitul acestui rezumat (consultați Secțiunea 8).

## 5. Care au fost reacțiile adverse?

Reacțiile adverse sunt probleme medicale (cum ar fi amețeala) care au apărut în timpul studiului.

- Acestea vor fi descrise în acest rezumat, dacă medicul de studiu consideră că reacțiile adverse sunt asociate cu tratamentele din studiu.
- Nu toate persoanele din acest studiu au manifestat toate reacțiile adverse.
- Reacțiile adverse pot fi ușoare până la foarte grave și pot fi diferite de la o persoană la alta.
- Este important să știți că reacțiile adverse raportate aici provin din acest studiu unic. Prin urmare, reacțiile adverse prezentate aici pot fi diferite de cele observate în alte studii sau cele care apar în prospectele medicamentelor.
- Dacă în acest studiu au fost observate reacții adverse grave și frecvente, acestea vor fi enumerate în secțiunile următoare.

### Reacții adverse grave

O reacție adversă este considerată „gravă” dacă pune viața în pericol, dacă necesită îngrijirea în spital sau provoacă probleme de durată.

În timpul studiului, o persoană (1%) a manifestat reacții adverse grave, considerate a fi cauzate de tratamentul de studiu. Persoana a prezentat o creștere a două niveluri diferite de proteine din sânge, indicată în rezultatele analizelor de sânge (creșterea amilazei și creșterea lipazei). Reacțiile adverse au sugerat că a existat o problemă la nivelul pancreasului. Reacțiile adverse au dispărut (s-au rezolvat) în timpul studiului.

Nimeni din acest studiu nu a decedat ca urmare a reacțiilor adverse care ar fi putut fi asociate cu medicamentele de studiu.

În timpul studiului, două persoane (2%) au decis să oprească tratamentul cu efmarodocokin alfa din cauza reacțiilor adverse considerate a fi cauzate de acest medicament de studiu.

### Cele mai frecvente reacții adverse

În timpul acestui studiu, 43 de persoane (34%) au manifestat o reacție adversă care nu a fost gravă, dar s-a considerat că a fost cauzată de tratamentul de studiu.

Cele mai frecvente reacții adverse – cele care au apărut la două sau mai multe persoane – sunt prezentate în tabelul următor. Unele persoane au prezentat mai mult de o reacție adversă – aceasta înseamnă că sunt incluse în mai multe rânduri din tabel.

Reacții adverse frecvente	Numărul de persoane cu reacție adversă
Piele uscată	30 de persoane (23%)
Mâncărime la nivelul pielii (prurit)	7 persoane (6%)
Decojirea pielii (exfoliere)	1 persoană (2%)
Buză uscată	4 persoane (3%)
Valori crescute ale proteinelor în sânge (alaninaminotransferază crescută)	2 persoane (2%)
Valori crescute ale proteinelor în sânge (lipază crescută)	2 persoane (2%)
Febră (pirexie)	2 persoane (2%)
Ochi uscați, membrane mucoase uscate sau piele uscată (xeroză)	2 persoane (2%)
Durere de cap	2 persoane (2%)

### Alte reacții adverse

Puteți găsi informații despre alte reacții adverse (nu sunt prezentate în secțiunile de mai sus) pe site-urile web enumerate la sfârșitul acestui rezumat – consultați Secțiunea 8.

## 6. Cum a contribuit acest studiu la cercetare?

Informațiile prezentate aici provin dintr-un singur studiu cu 128 de persoane cu CU. Aceste rezultate au ajutat investigatorii să afle mai multe despre CU și efmardocokin alfa.

Au existat reacții adverse grave și non-grave – considerate a fi cauzate de efmardocokin alfa. Reacțiile adverse au fost la un nivel acceptabil. Persoanele din studiu au tolerat efmardocokin alfa la un nivel acceptabil.

Studiul a fost oprit prematur deoarece sponsorul a decis să nu dezvolte efmardocokin alfa pentru CU. Medicamentul de studiu nu a funcționat așa cum s-a preconizat pentru CU.

Un singur studiu nu este niciodată suficient pentru a ne spune totul despre riscurile și beneficiile unui medicament. Este nevoie de participarea multor persoane, în diferite studii, pentru a afla tot ce avem nevoie să știm. Rezultatele din acest studiu pot fi diferite față de cele din alte studii cu același medicament.

- **Acest lucru înseamnă că nu trebuie să luați decizii pe baza acestui rezumat unic**
- **Discutați întotdeauna cu medicul dumneavoastră înainte de a lua decizii privind tratamentul dumneavoastră**

## 7. Sunt planificate alte studii?

La momentul redactării acestui rezumat, nu au mai fost planificate studii la efmardocokin alfa ca agent unic în colita ulcerativă.

## 8. Unde pot găsi mai multe informații?

Puteți afla mai multe informații despre acest studiu pe website-urile enumerate mai jos:

<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>

### Pe cine pot contacta dacă am întrebări despre acest studiu?

---

Dacă aveți alte întrebări după ce ați citit acest rezumat:

- Vizitați platforma pentru pacienți (ForPatients) și completați formularul de contact –  
<https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Contactați un reprezentant la sediul dumneavoastră Roche local.

Dacă ați participat la acest studiu și aveți întrebări despre rezultate:

- Discutați cu medicul de studiu sau cu personalul de la spitalul sau clinica de studiu.

Dacă aveți întrebări despre propriul tratament:

- Discutați cu medicul care se ocupă de tratamentul dumneavoastră.

### Cine a organizat și a plătit acest studiu?

---

Acest studiu a fost organizat și plătit de Genentech, Inc., South San Francisco, CA, SUA. Genentech face parte din F. Hoffmann-La Roche Ltd., care are sediul în Basel, Elveția.

### Titlul complet al studiului și alte informații de identificare

---

Titlul complet al studiului este:

Un studiu-extensie, de fază 2, în regim deschis, de evaluare a siguranței și tolerabilității pe termen lung a UTTR1147A la pacienți cu colită ulcerativă moderată până la severă sau boală Crohn

- Studiul este cunoscut sub denumirea de „SERENGETI”.
- Numărul protocolului pentru acest studiu este GA40209.
- Identificatorul ClinicalTrials.gov pentru acest studiu este NCT03650413.
- Numărul EudraCT pentru acest studiu este 2017-004997-32.