

Podsumowanie wyników badania klinicznego

Badanie oceniające długoterminowe bezpieczeństwo stosowania leku o nazwie efmarodokokina alfa u osób z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego

Pełen tytuł badania znajduje się na końcu streszczenia.

Informacje o podsumowaniu

Jest to streszczenie wyników badania klinicznego (zwanego w dalszej części dokumentu „badaniem”).

Podsumowanie to sporządzono dla:

- opinii publicznej;
- osób, które wzięły udział w badaniu.

Niniejsze streszczenie jest oparte na informacjach znanych w momencie jego sporządzania.

Badanie rozpoczęło się w styczniu 2019 r. i zakończyło w lipcu 2022 r. Niniejsze streszczenie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Żadne pojedyncze badanie nie jest w stanie dostarczyć nam wszystkich informacji na temat zagrożeń i korzyści związanych z lekiem. Uzyskanie wszystkich niezbędnych informacji wymaga pracy wielu osób w ramach szeregu badań. Wyniki tego badania mogą różnić się od innych badań nad tym samym lekiem.

- **Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji wyłącznie na podstawie tego streszczenia**
- **Należy zawsze porozmawiać ze swoim lekarzem przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących swojego leczenia**

Spis treści streszczenia

1. Informacje ogólne na temat tego badania
2. Kto wziął udział w tym badaniu?
3. Co się działo w trakcie badania?
4. Jakie były wyniki tego badania?
5. Jakie były działania niepożądane?
6. W jaki sposób to badanie pomogło w prowadzeniu badań naukowych?
7. Czy planowane są inne badania?
8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

Dziękujemy osobom, które wzięły udział w tym badaniu

Osoby biorące udział w badaniu pomogły badaczom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące wrzodziejącego zapalenia jelita grubego i badanego leku, efmarodokokina alfa.

Najważniejsze informacje na temat tego badania

- Badanie przeprowadzono w celu oceny, czy lek badany jest bezpieczny i tolerowany w przypadku stosowania długoterminowego.
- Każdy uczestnik badania przyjmował taką samą dawkę leku badanego – efmarodokokiny alfa.
- Do badania włączono 128 osób w 14 krajach.
- Główny wniosek dotyczył tego, że działania niepożądane związane ze stosowaniem efmarodokokiny alfa były na akceptowalnym poziomie.
- U jednej osoby (1%) wystąpiło ciężkie działanie niepożądane spowodowane przyjmowaniem leku badanego.
- U 43 osób (34%) wystąpiły działania niepożądane inne niż ciężkie, ale uważane za spowodowane przyjmowaniem leku badanego.
- Badanie zostało przedterminowo przerwane, ponieważ badany lek nie wykazał oczekiwanej skuteczności w leczeniu WZJG.

1. Informacje ogólne na temat tego badania

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Wrzodzące zapalenie jelita grubego (WZJG) obejmuje okrężnicę. Jest to jedna z postaci nieswoistego zapalenia jelit (NZJ), w której stan zapalny trwa dłuższy czas.

WZJG wiąże się z krwawieniem z odbytu, bólem brzucha, biegunką i krwawą biegunką. Dostępnych jest wiele leków na WZJG – niektóre z nich to kortykosteroidy, leki immunosupresyjne (azatiopryna, 6-merkaptopuryna i metotreksat), preparaty skierowane przeciwko czynnikowi martwicy nowotworów (inhibitory TNF) oraz preparaty skierowane przeciwko integrynom.

Działanie niektórych leków polega na hamowaniu funkcjonowania układu odpornościowego. Jest to pomocne w leczeniu WZJG, ale, niestety, mogą wystąpić działania niepożądane związane z zahamowanym funkcjonowaniem układu odpornościowego.

Badacze pracują nad znalezieniem bezpieczniejszych leków, które nie hamują funkcji układu odpornościowego. Szczególnie przydatne będą leki, które zatrzymają progresję choroby, dzięki czemu pacjenci nie będą wymagać zabiegu chirurgicznego.

Efmarodokokina alfa to nowy lek będący przedmiotem badań. Był on podawany osobom z WZJG biorącym udział w innych badaniach. Nie hamuje on układu odpornościowego.

Badanie zostało przeprowadzone w celu oceny bezpieczeństwa stosowania leku przez osoby, które przyjmują efmarodokokinę alfa przez dłuższy czas. Do tego badania włączono osoby, które przyjmowały już efmarodokokinę alfa przez krótki czas w ramach innego badania.

Jaki lek był badany?

Przedmiotem tego badania był lek zwany „efmarodokokina alfa”.

- Ten lek jest również znany jako „UTTR1147A”.
- Efmarodokokina alfa to lek opracowany poprzez połączenie (fuzję) dwóch różnych białek – w tym białka IL22, które posiada właściwości przeciwzapalne.
- Efmarodokokina jest przedmiotem badania mającego na celu sprawdzenie, czy może ona być pomocna u osób z WZJG.

Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

Badacze przeprowadzili wcześniej badanie porównujące efmarodokokinę alfa z dostępnym lekiem (wedolizumabem) i placebo.

Po zakończeniu poprzedniego badania wielu jego uczestników zostało włączonych do tego badania.

Główne pytanie, na które chcieli odpowiedzieć badacze, brzmiało następująco:

1. W jakim stopniu stosowanie efmarodokokiny alfa przez dłuższy czas jest bezpieczne?

Jakiego rodzaju było to badanie?

Jest to **badanie przedłużone prowadzone metodą otwartej próby**.

Badacze oraz osoby biorące udział w badaniu (**uczestnicy badania**) wiedzieli, jaki lek przyjmują uczestnicy w ramach tego badania. Ponieważ każdy to wiedział, badanie to było prowadzone „**metodą otwartej próby**”.

W poprzednim badaniu badacze oceniali bezpieczeństwo efmarodokokiny alfa u osób z WZJG. Obecne badanie to „**badanie przedłużone**”, ponieważ badacze chcieli w dalszym ciągu oceniać skutki stosowania efmarodokokiny alfa u osób biorących udział w poprzednim badaniu. Osoby biorące udział w poprzednim badaniu (GA39925) zostały włączone do tego badania (GA40209).

Gdzie i kiedy odbyło się badanie?

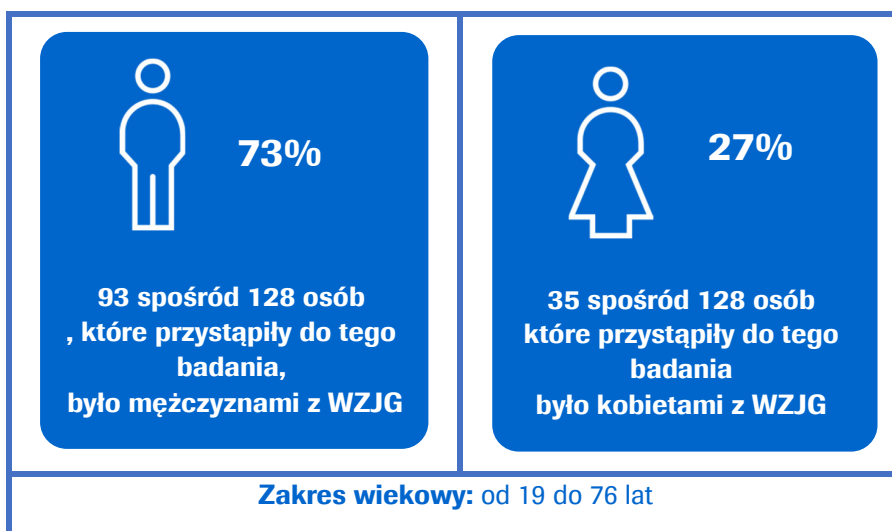
Badanie rozpoczęło się w styczniu 2019 r. i zakończyło w lipcu 2022 r. Niniejsze streszczenie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Badanie odbyło się w 66 ośrodkach badawczych – w 14 krajach:

- w Polsce (17 ośrodków badawczych)
- w Ukrainie (17 ośrodków badawczych)
- w Serbii (7 ośrodków badawczych)
- w Niemczech (5 ośrodków badawczych)
- w Rosji (5 ośrodków badawczych)
- we Włoszech (4 ośrodki badawcze)
- w Grecji (3 ośrodki badawcze)
- w Bułgarii (2 ośrodki badawcze)
- w Gruzji (1 ośrodek badawczy)
- w Irlandii (1 ośrodek badawczy)
- w Mołdawii (1 ośrodek badawczy)
- w Hiszpanii (1 ośrodek badawczy)
- w Wielkiej Brytanii (1 ośrodek badawczy)
- w Stanach Zjednoczonych (1 ośrodek badawczy)

2. Kto wziął udział w tym badaniu?

Sto dwadzieścia osiem osób z WZJG, które otrzymały co najmniej jedną dawkę leku badanego.



W badaniu mogły wziąć udział osoby spełniające wszystkie z poniższych warunków:

- uczestniczyli w poprzednim badaniu oceniającym efmardokokinę alfa – badaniu GA39925;
- byli w stanie przestrzegać wymogów obecnego badania. Jednym z wymogów jest stosowanie antykoncepcji podczas przyjmowania leku badanego.

W badaniu nie mogły wziąć osoby spełniające dowolne z poniższych warunków:

- spełnili warunki przerwania leczenia stosowanego w poprzednim badaniu;
- przerwali leczenie stosowane w badaniu oraz wycofali się z poprzedniego badania (GA39925) – zanim spełnili kryteria kwalifikacyjne do udziału w tym badaniu;
- nie przestrzegali wymogów badania GA39925. Na przykład,
 - nie stawiali się w ośrodku badawczym na wizyty w planowych terminach;
 - nie przyjmowali regularnie wymaganych leków;
- kobiety były w ciąży, karmiły piersią albo planowały zajść w ciążę w określonym okresie po zakończeniu przyjmowania leku badanego;
- nastąpiły u nich jakiegokolwiek zmiany stanu zdrowia po włączeniu do badania GA39925;
- przyjmowali leki niedozwolone w tym badaniu.

3. Co się działo w trakcie badania?

Czy każdy uczestnik przyjmował lek?

- U osób biorących udział w tym badaniu mogła wystąpić „**remisja kliniczna**” – tj. ustąpienie poważnych objawów przedmiotowych i podmiotowych WZJG.
- Wyłącznie osoby, które nie osiągnęły remisji klinicznej, mogły przyjmować lek badany.
- Remisja kliniczna mogła wystąpić na początku tego badania albo w dowolnym momencie w trakcie trwania badania.
- Badacze spotykali się z uczestnikami w różnych terminach w trakcie badania, aby dowiedzieć się, czy osiągnęli oni remisję kliniczną.

Jaki lek był podawany?

- Osoby biorące udział w tym badaniu przyjmowały efmardokokinę alfa w dawce 60 µg/kg (60 mikrogramów na kilogram masy ciała), podawanej raz na cztery tygodnie. Lek był podawany dożylnie – za pomocą rurki wprowadzanej od żyły – w ośrodku badawczym.

Jak długo trwało leczenie?

- Badacze planowali poddawać uczestników badania obserwacji przez około dwa lata – do Tygodnia 104.
- Leczenie mogło zostać przerwane w dowolnym momencie, gdy:
 - wystąpiła remisja kliniczna;
 - doszło do progresji choroby;
 - sponsor, badacze albo uczestnicy badania podjęli decyzję o przerwaniu leczenia.

Badanie zostało przedwcześnie zakończone, ponieważ sponsor zdecydował o zaprzestaniu opracowywania efmardokokiny alfa na potrzeby leczenia WZJG. Gdy uczestnikom podano ostatnie dawki leku, poproszono ich o stawianie się w ośrodku badawczym na kolejne wizyty w celu oceny ich ogólnego stanu zdrowia.

4. Jakie były wyniki tego badania?

Badanie ukończyło 28 osób (22%) ze 128 osób, którym podano co najmniej jedną dawkę leku badanego.

Stosowanie leku badanego przerwało 100 osób. Głównym powodem był „brak skuteczności”, co oznacza, że lek nie był przydatny. Taki powód podały 53 osoby (41%). Kolejne 21 osób przerwało stosowanie leku badanego ze względu na zakończenie badania przez sponsora.

Pytanie 1: W jakim stopniu stosowanie efmardokokiny alfa przez dłuższy czas jest bezpieczne?

Badacze oceniali działania niepożądane spowodowane stosowaniem leku badanego. Przeprowadzali badania diagnostyczne uczestników badania w ośrodku badawczym. Badacze zadawali pytania i pobierali próbki krwi na potrzeby badań laboratoryjnych.

Wyniki badania wykazały, że działania niepożądane efmardokokiny alfa były na akceptowalnym poziomie. Uczestnicy badania tolerowali efmardokokinę alfa na akceptowalnym poziomie.

- U jednej osoby (1%) wystąpiło ciężkie działanie niepożądane, które badacze uznali za spowodowane przyjmowaniem leku badanego.
- U 43 osób (34%) wystąpiły działania niepożądane inne niż ciężkie, które badacze uznali za spowodowane przyjmowaniem leku badanego.

W tej części przedstawiono tylko kluczowe wyniki tego badania. Informacje na temat wszystkich innych wyników można znaleźć na stronach internetowych, których adresy są wymienione na końcu niniejszego podsumowania (patrz punkt 8).

5. Jakie były działania niepożądane?

Działania niepożądane to problemy zdrowotne (takie jak zawroty głowy), które wystąpiły podczas badania.

- Zostały one opisane w niniejszym podsumowaniu, ponieważ lekarz prowadzący badanie uważał, że działania niepożądane były związane z lekami stosowanymi w badaniu.
- W żadnym badaniu nie zdarza się, by u wszystkich uczestników badania wystąpiły wszystkie działania niepożądane.
- Działania niepożądane mogą być łagodne lub bardzo poważne i mogą być różne u różnych osób.
- Ważne jest, aby mieć świadomość, że zgłaszane tutaj działania niepożądane pochodzą z tego jednego badania. W związku z tym przedstawione tutaj działania niepożądane mogą różnić się od tych obserwowanych w innych badaniach lub tych, które są wymienione w ulotce leku.
- Jeżeli w tym badaniu zaobserwowano u uczestników ciężkie i często występujące działania niepożądane, zostaną one wymienione w poniższych punktach.

Ciężkie działania niepożądane

Działanie niepożądane uznaje się za „ciężkie”, jeżeli zagraża życiu, wymaga hospitalizacji lub powoduje długotrwałe problemy.

W trakcie tego badania u jednej osoby (1%) wystąpiło ciężkie działanie niepożądane, które uznano za spowodowane przez lek badany. U osoby tej wzrosło stężenie dwóch różnych białek we krwi – na co wskazywały wyniki badań krwi (wzrost stężenia amylazy i lipazy). To działanie niepożądane wskazuje na problemy z trzustką. Działania niepożądane ustąpiły w trakcie badania.

Żaden z uczestników badania nie zmarł w wyniku działania niepożądanego, które mogło być związane z lekami stosowanymi w badaniu.

W trakcie badania dwie osoby (2%) postanowiły przerwać leczenie efmarodokokiną alfa z powodu działań niepożądanych uznanych za spowodowane stosowaniem leku badanego.

Najczęstsze działania niepożądane

W trakcie tego badania u 43 osób (34%) wystąpiło działanie niepożądane, które nie było ciężkie, ale uznano, że zostało spowodowane przez lek badany.

Najczęściej występujące działania niepożądane, które wystąpiły u co najmniej dwóch osób, przedstawiono w tabeli poniżej. U niektórych osób mogło wystąpić więcej niż jedno działanie niepożądane – oznacza to, że są one uwzględnione w więcej niż jednym wierszu tabeli.

Częste działania niepożądane	Liczba osób, u których wystąpiły działania niepożądane
Suchość skóry	30 osób (23%)
Swędzenie skóry (świąd)	7 osób (6%)
Łuszczenie skóry	1 osoba (2%)
Suchość ust	4 osoby (3%)
Podwyższone stężenie białka we krwi (podwyższone stężenie aminotransferazy alaninowej)	2 osoby (2%)
Podwyższone stężenie białka we krwi (podwyższone stężenie lipazy)	2 osoby (2%)
Gorączka (podwyższona temperatura ciała)	2 osoby (2%)
Suchość oczu, błon śluzowych albo skóry (kseroza)	2 osoby (2%)
Ból głowy	2 osoby (2%)

Inne działania niepożądane

Informacje na temat innych działań niepożądanych (niewymienionych powyżej) można znaleźć w witrynach internetowych, których listę podano na końcu niniejszego streszczenia - patrz punkt 8.

6. W jaki sposób to badanie pomogło w prowadzeniu badań naukowych?

Przedstawione tutaj informacje pochodzą z pojedynczego badania z udziałem 128 osób z WZJG. Wyniki te pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat WZJG i efmarodokokiny alfa.

Działania niepożądane, które zostały uznane za spowodowane przyjmowaniem efmarodokokiny alfa, były ciężkie i inne niż ciężkie. Występujące działania niepożądane były na akceptowalnym poziomie. Uczestnicy badania tolerowali efmarodokokinę alfa na akceptowalnym poziomie.

Badanie zostało przedwcześnie zakończone, ponieważ sponsor zdecydował nie opracowywać efmarodokokiny alfa na potrzeby leczenia WZJG. Lek będący przedmiotem badania nie wykazał oczekiwanej skuteczności w leczeniu WZJG.

Żadne pojedyncze badanie nie jest w stanie dostarczyć nam wszystkich informacji na temat zagrożeń i korzyści związanych z lekiem. Uzyskanie wszystkich niezbędnych informacji wymaga pracy wielu osób w ramach różnych badań. Wyniki tego badania mogą różnić się od innych badań nad tym samym lekiem.

- **Oznacza to, że nie należy podejmować decyzji wyłącznie na podstawie tego streszczenia**
- **Należy zawsze porozmawiać ze swoim lekarzem przed podjęciem jakichkolwiek decyzji dotyczących swojego leczenia**

7. Czy planowane są inne badania?

W momencie sporządzania niniejszego streszczenia nie planowano żadnych innych badań oceniających stosowanie efmarodokokiny alfa w monoterapii w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego.

8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

Więcej informacji na temat tego badania można znaleźć na witrynach internetowych wymienionych poniżej:

<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>

Z kim mogę się skontaktować w przypadku pytań dotyczących tego badania?

W razie dalszych pytań po przeczytaniu niniejszego streszczenia:

- Proszę odwiedzić platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Proszę skontaktować się z przedstawicielem miejscowego biura Roche.

Jeżeli brał Pan/brała Pani udział w tym badaniu i ma jakiegokolwiek pytania dotyczące wyników:

- Proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym badanie lub personelem ośrodka badawczego.

W razie pytań dotyczących leczenia, któremu jest Pan poddawany/Pani poddawana:

- Proszę porozmawiać z lekarzem kierującym Pana/Pani leczeniem.

Kto zorganizował i sfinansował to badanie?

To badanie zostało zorganizowane i sfinansowane przez spółkę Genentech, Inc., South San Francisco, CA, Stany Zjednoczone. Genentech należy do spółki F. Hoffmann-La Roche Ltd. z siedzibą w Bazylei w Szwajcarii.

Pełen tytuł badania oraz inne informacje identyfikacyjne

Pełen tytuł tego badania to:

Badanie przedłużone fazy II prowadzone metodą otwartej próby mającej na celu długoterminową ocenę bezpieczeństwa i tolerancji produktu UTTR1147A u pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego lub chorobą Leśniowskiego-Crohna w postaci umiarkowanej do ciężkiej

- Badanie jest znane jako „SERENGETI”.
- Numer protokołu tego badania to GA40209.
- Identyfikator ClinicalTrials.gov dla tego badania to NCT03650413.
- Numer EudraCT tego badania to 2017-004997-32.