

Podsumowanie wyników badania klinicznego

Badanie, którego celem jest sprawdzenie, czy nowy lek – MTPS9579A – jest skuteczny u osób z astmą

Pełny tytuł badania znajduje się na końcu niniejszego podsumowania.

Informacje o podsumowaniu

Niniejszy dokument stanowi podsumowanie wyników badania klinicznego (zwanego w dalszej części „badaniem”).

Podsumowanie to sporządzono dla:

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

Niniejsze podsumowanie jest oparte na informacjach znanych w momencie sporządzania.

Badanie rozpoczęło się w październiku 2019 r. i zakończyło w maju 2022 r. Niniejsze podsumowanie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Żadne pojedyncze badanie nie może dostarczyć nam pełnych informacji o zagrożeniach i korzyściach związanych z danym lekiem. Aby pomóc nam w uzyskaniu wszystkich niezbędnych informacji, wymagany jest udział wielu osób w kilku badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od wyników innych badań z zastosowaniem tego samego leku.

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

Spis treści podsumowania

1. Informacje ogólne na temat tego badania
2. Kto brał udział w tym badaniu?
3. Co się działo w trakcie badania?
4. Jakie były wyniki badania?
5. Jakie były skutki uboczne?
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, które wzięły udział w tym badaniu, pomogły badaczom uzyskać odpowiedzi na ważne pytania dotyczące astmy oraz leku badanego MTPS9579A.

Najważniejsze informacje na temat tego badania

- Badanie przeprowadzono w celu ustalenia, czy nowy lek badany jest pomocny w kontrolowaniu astmy.
- Osobom uczestniczącym w tym badaniu podawano lek badany (MTPS9579A) albo placebo – decyzja o tym, jakiemu leczeniu będzie poddawana każda osoba, była podejmowana losowo.
- Do badania włączono 134 osoby z astmą z pięciu krajów.
- Główny wynik był taki, że produkt MTPS9579A nie jest skuteczny w kontrolowaniu astmy u uczestników tego badania.
- U żadnej osoby uczestniczącej w badaniu nie wystąpił ciężki skutek uboczny, który lekarze prowadzący badanie uznali za spowodowany przez lek stosowany w badaniu.
- U siedmiu osób (11%), które otrzymywały placebo, i jednej osoby (1%), która otrzymywała MTPS9579A, wystąpiły skutki uboczne inne niż ciężkie, jednak według lekarzy prowadzących badanie ich przyczyną były leki stosowane w badaniu.
- MTPS9579A nie będzie już opracowywany pod kątem astmy.

1. Informacje ogólne na temat tego badania

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Astma to choroba dróg oddechowych prowadzących do płuc. U osób z astmą może występować kaszel, świszczący oddech i trudności z oddychaniem.

Na astmę cierpi około 300 milionów ludzi na świecie. Każdego roku z powodu astmy na świecie umiera około 420 000 osób. Kolejne miliony osób z powodu astmy opuszczają zajęcia w szkole lub dni w pracy, bądź trafiają do szpitala.

Do kontrolowania astmy stosuje się szereg różnego rodzaju leków, nazywanych „**lekami kontrolującymi przebieg choroby**”. Jednakże u wielu osób wciąż występuje astma, której nie można kontrolować za pomocą żadnego z dostępnych leków.

Badacze zajmujący się astmą wiedzą, że jest wiele czynników wywołujących astmę, jest też wiele różnych rodzajów astmy. W przypadku niektórych jej podrodzajów chorobę wywołują komórki odpornościowe i białka przez nie uwalniane.

Jednym z rodzajów komórek odpornościowych obecnych w płucach (i innych miejscach) są tzw. „komórki tuczne”. Komórki tuczne w odpowiedzi na czynniki wywołujące reakcję uczuleniową lub stan zapalny uwalniają do płuc białko o nazwie „tryptaza” (i inne substancje).

Tryptaza wywołuje w organizmie następujące odpowiedzi:

- nadwrażliwość na stymulację: zwężenie dróg oddechowych u osób ze skłonnością do astmy – w odpowiedzi na bodźce, które u zdrowych osób nie wywołałyby żadnego skutku albo niewielki skutek;
- zwężenie oskrzeli: zaciśnięcie się mięśni w okolicach dróg oddechowych prowadzących do płuc – powoduje to kaszel, świszczący oddech i duszności;
- nasilenie degranulacji komórek tucznych: obecność tryptazy w otoczeniu powoduje jej uwalnianie również przez inne komórki tuczne.

MTPS9579A to nowy lek (który jeszcze nie został dopuszczony do obrotu). Oceniano go w celu ustalenia, czy może być użyteczny w obniżaniu poziomu tryptazy i pomagać osobom z astmą.

Badanie to przeprowadzono w celu ustalenia, czy MTPS9579A jest skuteczny w kontrolowaniu astmy u osób, które stosowały **wziewne kortykosteroidy (WKS)** i inny lek – **drugi lek kontrolujący przebieg** astmy.

Jakie leki były stosowane w badaniu?

W tym badaniu oceniano lek badany i placebo:

MTPS9579A

- Ten lek to przeciwciało wiążące tryptazę i powstrzymujące jej działanie – powoduje obniżenie ilości czynnej tryptazy.
- Jest on podawany dożylnie i jest badany pod kątem użyteczności w odwracaniu objawów astmy u ludzi.
- Badano go u osób zdrowych i osób z astmą – ustalono przy tym, że jest on wystarczająco bezpieczny, aby można go było podawać w badanych dawkach.

Placebo

- Wszyscy uczestnicy tego badania byli poddawani leczeniu. Leczenie obejmowało lek badany (MTPS9579A) albo placebo.
- Placebo wyglądało tak samo jak prawdziwy lek, ale nie zawierało żadnego leku. Oznacza to, że nie miało żadnego wpływu leczniczego na organizm.
- Badacze porównywali leczenie z zastosowaniem MTPS9579A do leczenia z zastosowaniem placebo, aby można było wykazać, jakie korzyści bądź jakie skutki uboczne leczenia były wywołane przez MTPS9579A.

Czego chcieli się dowiedzieć badacze?

Badacze przeprowadzili to badanie, aby porównać MTPS9579A z placebo – aby sprawdzić, jak skuteczny był MTPS9579A (patrz punkt 4 „Jakie były wyniki badania?”).

Chcieli także dowiedzieć się, na ile bezpieczne jest stosowanie leku – poprzez sprawdzenie, u ilu osób wystąpiły skutki uboczne i jak ciężkie one były (patrz punkt 5 „Jakie były skutki uboczne?”).

Główne pytanie, na które chcieli odpowiedzieć badacze, było następujące:

1. Czy MTPS9579A był skuteczny u osób z astmą, gdy był podawany oprócz innych leków już stosowanych przez te osoby?

Jakiego rodzaju było to badanie?

To badanie można opisać na kilka sposobów.

- **Badanie fazy 2**
Badania fazy 2 prowadzone są w celu sprawdzenia, czy lek badany jest skuteczny u ludzi z chorobą, na którą lek jest ukierunkowany.
Często lek badany oceniany w badaniu fazy 2 był już wcześniej oceniany w badaniach fazy 1 i stwierdzono, że jego stosowanie u ludzi jest bezpieczne.
- **Badanie randomizowane**
Komputer losowo zdecydował, którzy pacjenci zostali włączeni do danej grupy leczenia. Badacze i osoby, które wzięły udział w badaniu, nie mieli nad tym żadnej kontroli.
- **Badanie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby**
Badacze i osoby biorące udział w badaniu nie wiedzieli, kto otrzymuje które leczenie. Na tym właśnie polega badanie prowadzone metodą podwójnie ślepej próby.
- **Badanie kontrolowane placebo**
Niektóre osoby otrzymywały leczenie przy zastosowaniu „placebo”. Pozwoliło to badaczom porównać reakcję pacjentów na leczenie prawdziwym lekiem i bez zastosowania leku. Sprawiało to, że badanie to było „badaniem kontrolowanym placebo”.

Kiedy i gdzie prowadzono badanie?

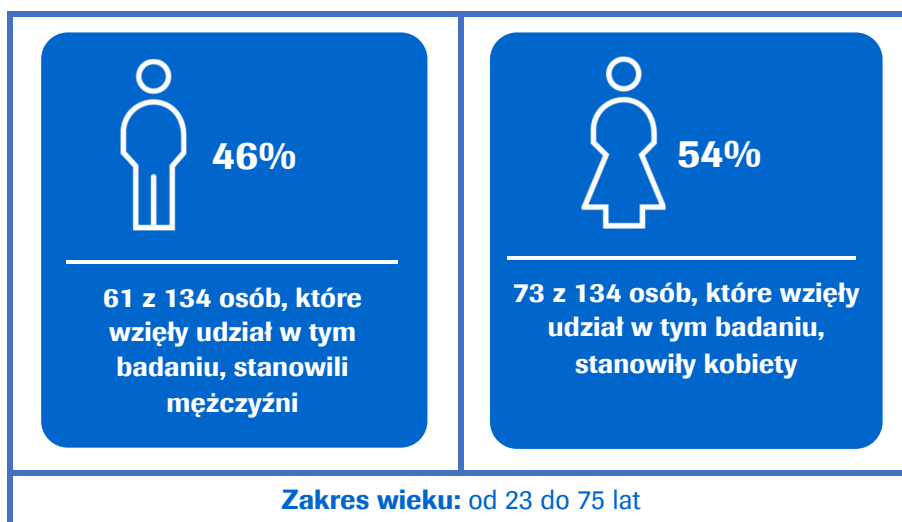
Badanie rozpoczęło się w październiku 2019 r. i zakończyło w maju 2022 r. Niniejsze podsumowanie zostało sporządzone po zakończeniu badania.

Badanie było prowadzone w 26 ośrodkach badawczych w pięciu krajach:

- w Argentynie – 4 ośrodki badawcze;
- w Niemczech – 5 ośrodków badawczych;
- w Peru – 2 ośrodki badawcze;
- w Polsce – 8 ośrodków badawczych;
- w Stanach Zjednoczonych – 7 ośrodków badawczych.

2. Kto brał udział w tym badaniu?

W tym badaniu udział wzięły 134 osoby z astmą.



Pacjenci mogli wziąć udział w badaniu, jeśli spełnili wszystkie z poniższych warunków:

- Byli w wieku od 18 do 75 lat.
- Mieli astmę rozpoznaną przez lekarza przynajmniej od roku.
- Mieli masę ciała przynajmniej 40 kg i spełniali wymóg dotyczący proporcji wzrostu do masy ciała (BMI 18–38 kg/m²).
- Przeprowadzono u nich badania oddechowe (spirometrię) i spełnili oni kryteria udziału w tym badaniu.
- Stosowali WKS i drugi lek kontrolujący przebieg choroby przez przynajmniej trzy ostatnie miesiące – bez zmian w ciągu ostatnich czterech tygodni.
- Wypełnili kwestionariusz i osiągnęli wymagany wynik (kwestionariusz kontroli astmy – ACQ-5).
- Wystąpiły u nich przynajmniej dwa napady (zaostrzenia) astmy w ciągu ostatnich 12 miesięcy w czasie „leczenia podtrzymującego” z zastosowaniem WKS mającego na celu kontrolę objawów.
- Wykazali się wiedzą (kompetencjami) w zakresie codziennych obowiązków wynikających z udziału w badaniu.
- Mężczyźni mający partnerki oraz kobiety zobowiązali się do stosowania antykoncepcji.

W badaniu nie mogli wziąć udziału osoby spełniające dowolne z poniższych warunków:

- Stwierdzone w wywiadzie albo występujące obecnie schorzenia niedozwolone w tym badaniu.
- Stwierdzone w wywiadzie palenie dużej ilości tytoniu lub papierosów elektronicznych.
- Palenie obecnie umiarkowanej ilości tytoniu lub papierosów elektronicznych i brak chęci rzucenia palenia na czas trwania badania.
- Stwierdzone w wywiadzie albo aktualne stosowanie substancji kontrolowanych mogących zakłócić przebieg badania.
- Zabieg chirurgiczny planowany na dzień w okresie udziału w badaniu.
- Stwierdzona wrażliwość na którykolwiek ze składników leków stosowanych w badaniu.
- Rozpoczęcie przyjmowania albo zmiana leków tuż przed rozpoczęciem badania lub w jego trakcie.
- Leczenie z zastosowaniem przetoczeń krwi lub składników krwi tuż przed rozpoczęciem badania lub w jego trakcie.
- Szczepienie szczepionką zawierającą żywe albo zmodyfikowane (atenuowane) wirusy tuż przed rozpoczęciem badania lub w jego trakcie.
- Stwierdzone w wywiadzie niedawne leczenie bądź planowane leczenie w trakcie badania – przyjmowanie szeregu leków niedozwolonych w tym badaniu.

3. Co się działo w trakcie badania?

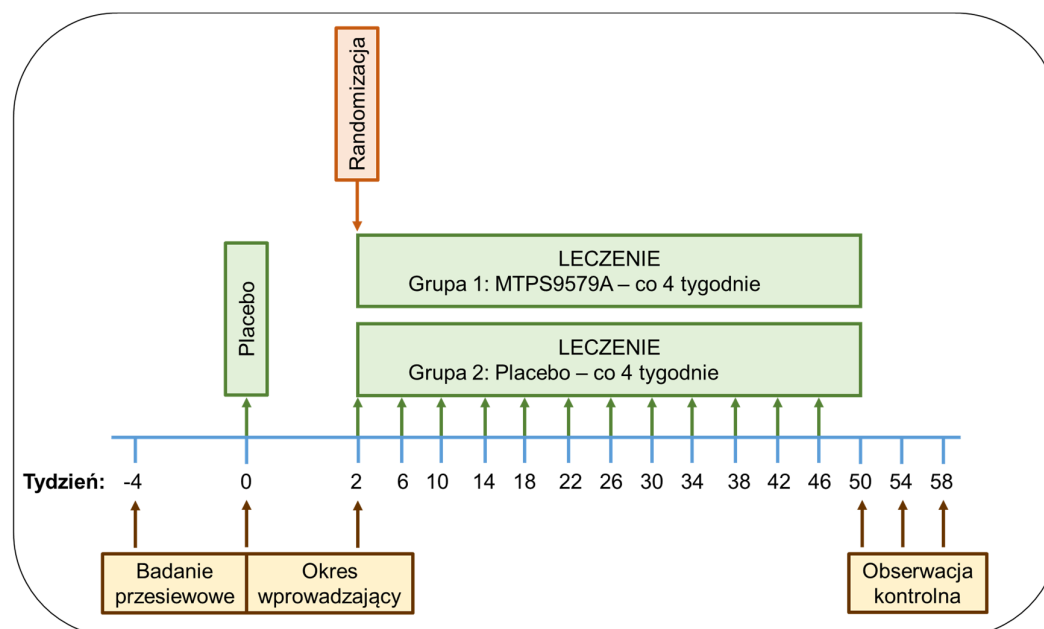
W różnych momentach były wykonywane różne czynności w ramach badania.

Okres przesiewowy

- Od Tygodnia -4 do Tygodnia 0: przez cztery tygodnie przed rozpoczęciem badania potencjalnych uczestników poddawano badaniom przesiewowym celem ustalenia, czy spełniają kryteria włączenia do badania.

Okres wprowadzający

- Tydzień 0: każda osoba otrzymała jedną dawkę placebo.
- Tydzień 2: uczestników przydzielono losowo do grupy 1 albo grupy 2.



Leczenie

- Uczestnicy odbywali wizyty w ośrodku badawczym w celu przyjmowania leków. Leki podawano raz na cztery tygodnie, począwszy od Tygodnia 2. Ostatnią dawkę leku podano w Tygodniu 46.
- Każdy lek podawano dożylnie za pomocą igły wprowadzonej do żyły.
- Osoby przyjmujące leki ani członkowie personelu ośrodka badawczego nie wiedzieli, kto otrzymuje MTPS9579A, a kto placebo. Dzięki temu było to badanie prowadzone metodą „podwójnie ślepej próby”.

Dalsza obserwacja

- Uczestnicy badania odbyli wizyty w ośrodku badawczym w Tygodniu 50 i Tygodniu 54 w celu poddania się badaniom i udzielenia odpowiedzi na pytania.
- W Tygodniu 58 (albo, w przypadku niektórych uczestników badania, w Tygodniu 63) personel prowadzący badanie zadawał pytania telefonicznie.

Inne wymagania

- W czasie trwania badania uczestnicy byli zobowiązani do dalszego codziennego przyjmowania WKS i innego leku kontrolującego przebieg choroby.
- Musieli zapisywać (dokumentować) swój stan zdrowia w dzienniczku dwa razy na dobę.

4. Jakie były wyniki badania?

Pytanie 1: Czy MTPS9579A był skuteczny u osób z astmą, gdy był podawany oprócz innych leków już stosowanych przez te osoby?

Badacze analizowali liczbą **zdarzeń związanych z astmą**. Zdarzenia te to:

- zaostrenie astmy: nowe lub zaostrene objawy, które powodowały interwencję (wizytę w szpitalu lub podanie leków);
- zaostrenie astmy według zapisów w dzienniczku: zmiany stanu zdrowia uczestników udokumentowane w ich dzienniczkach. Były to między innymi wyniki badań oddechowych, przyjmowanie leków oraz objawy astmy.

	Placebo	MTPS9579A
Liczba osób w tej grupie leczenia	65	69
Liczba osób, u których wystąpiły zdarzenia związane z astmą	34 (52%)	32 (46%)

- W czasie udziału w badaniu zdarzenia związane z astmą wystąpiły u mniejszego odsetka (46%) osób otrzymujących MTPS9579A niż w grupie otrzymującej placebo (52%).
- Badacze porównali te wyniki, przeprowadzając testy statystyczne. Ustalono, że różnica nie była statystycznie istotna. Oznacza to, że różnica nie była wystarczająco duża, by wykazać przewagę MTPS9579A.
- MTPS9579A nie był skuteczniejszy niż placebo.

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 skutki uboczne?

Skutki uboczne to problemy zdrowotne (takie jak zawroty głowy), które wystąpiły podczas badania.

- Jeśli wystąpiły one podczas tego badania, zostały one opisane w niniejszym podsumowaniu, ponieważ lekarz prowadzący badanie uważał, że skutki uboczne były związane z leczeniem w ramach badania.
- Nie u wszystkich osób uczestniczących w dowolnym badaniu występują wszystkie skutki uboczne.
- Skutki uboczne mogą być łagodne lub bardzo poważne i mogą być różne u różnych osób.
- Jeżeli w podsumowaniu odnotowano skutki uboczne, należy pamiętać, że pochodzą one tylko z tego badania. W związku z tym przedstawione tutaj skutki uboczne mogą różnić się od tych obserwowanych w innych badaniach lub tych, które pojawiają się w ulotce leku.
- Jeżeli w tym badaniu wystąpiły u uczestników ciężkie i częste skutki uboczne, zostaną one wymienione w poniższych punktach.

Ciężkie skutki uboczne

Skutek uboczny uznaje się za „ciężki”, jeżeli zagraża życiu, wymaga hospitalizacji lub powoduje długotrwałe problemy.

W trakcie tego badania żadna osoba nie zgłosiła ciężkiego skutku ubocznego, który badacze uznali za spowodowany przez leki stosowane w badaniu.

- Jedna osoba z grupy przyjmującej placebo, u której wystąpił skutek uboczny, który nie był ciężki, lecz uważano, że był spowodowany leczeniem, podjęła decyzję o przerwaniu przyjmowania leku stosowanego w badaniu.
- W trakcie udziału w badaniu zmarły dwie osoby. Jedna osoba z grupy otrzymującej placebo zmarła na skutek zapalenia płuc wywołanego przez COVID-19. Inna osoba z grupy otrzymującej MTPS9579A zginęła w wypadku. Przyczyną żadnego z tych zgonów nie był lek badany.

Najczęstsze skutki uboczne

W trakcie tego badania u ośmiu (6%) z 134 osób wystąpiły skutki uboczne, które nie zostały uznane za ciężkie, ale uznano, że zostały spowodowane przez leczenie w ramach badania.

	Placebo	MTPS9579A
Liczba osób w tej grupie leczenia	65	69
Liczba osób, u których wystąpiły skutki uboczne inne niż ciężkie, ale uznane za spowodowane przez leczenie w ramach badania.	7 (11%)	1 (1%)
Skutki uboczne:		
Senność (somniałencja)	2 osoby (3%)	0
Przebarwienie w miejscu wstrzyknięcia	1 osoba (2%)	
Zawroty głowy	0	1 osoba (1%)
Uczucie zmęczenia	1 osoba (2%)	0
Oslabienie (astenia)	1 osoba (2%)	0
Gorączka (podwyższona temperatura ciała)	1 osoba (2%)	0
Reakcja w miejscu wstrzyknięcia	1 osoba (2%)	0
Czerwone plamy na skórze (rumień wielopostaciowy)	1 osoba (2%)	0
Pocenie się bez przyczyny (nadpotliwość)	1 osoba (2%)	0

Inne skutki uboczne

Informacje na temat innych skutków ubocznych (niepodanych w powyższych punktach) można znaleźć na stronach internetowych wymienionych na końcu niniejszego podsumowania – patrz punkt 8.

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

Przedstawione tu informacje pochodzą z jednego badania, w którym uczestniczyły 134 osoby. Uzyskane wyniki pomogły badaczom dowiedzieć się więcej na temat astmy oskrzelowej i leku badanego. Badacze ustalili, że MTPS9579A nie był skuteczny w kontrolowaniu astmy w porównaniu z placebo u osób, które przyjmowały WKS i drugi lek kontrolujący przebieg astmy.

Żadne pojedyncze badanie nie może dostarczyć nam pełnych informacji o zagrożeniach i korzyściach związanych z danym lekiem. Aby pomóc nam w uzyskaniu wszystkich niezbędnych informacji, wymagany jest udział wielu osób w wielu badaniach. Wyniki tego badania mogą różnić się od wyników innych badań z zastosowaniem tego samego leku.

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

7. Czy planowane są inne badania?

W momencie sporządzania niniejszego podsumowania nie planowano żadnych innych badań oceniających stosowanie MTPS9579A w leczeniu astmy. Lek ten nie powodował poprawy stanu osób z astmą.

8. Gdzie mogę znaleźć więcej informacji?

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

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04092582>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2019-000795-41/results>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/asthma/a-study-to-evaluate-the-efficacy--safety--and-pharmacok-66457.html>

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

W razie dalszych pytań po przeczytaniu niniejszego podsumowania można:

- odwiedzić platformę ForPatients i wypełnić formularz kontaktowy – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- skontaktować się z przedstawicielem w lokalnym biurze firmy Roche.

Jeśli uczestniczył Pan/uczestniczyła Pani w tym badaniu i ma jakiegokolwiek pytania dotyczące wyników:

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

W razie pytań dotyczących własnego leczenia:

- proszę porozmawiać z lekarzem prowadzącym leczenie.

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.

Pełny tytuł badania i inne informacje identyfikacyjne

Pełny tytuł tego badania to:

Wieloośrodkowe, randomizowane badanie fazy 2a prowadzone metodą podwójnie ślepej próby z grupą kontrolną otrzymującą placebo, mające na celu ocenę skuteczności, bezpieczeństwa stosowania i farmakokinetyki MTPS9579A u pacjentów z astmą wymagających stosowania wziewnych kortykosteroidów i drugiego leku kontrolującego przebieg choroby.

- Numer protokołu tego badania to GB41149.
- Identyfikator ClinicalTrials.gov dla tego badania to NCT04092582.
- Numer EudraCT dla tego badania to 2019-000795-41.