

Kliinisen tutkimuksen tulokset - yhteenveto maallikoille

Tutkimus, jossa arvioidaan okrelitsumabin pitkäkestoisen käytön turvallisuutta ja kykyä vähentää taudin aktiivisuutta MS-tautia sairastavilla henkilöillä, joilla muun tyyppinen MS-taudin hoito ei ole tuottanut hyvää vastetta

Tutkimuksen koko nimi löytyy tämän yhteenvedon lopusta.

Tietoa tästä yhteenvedosta

Tämä on yhteenveto LIBERTO-nimisen kliinisen lääketutkimuksen (tässä asiakirjassa ”jatkotutkimus”) tuloksista. Se on tarkoitettu

- suurelle yleisölle ja
- tutkimuksen osallistujille.

Yhteenveto perustuu kirjoitushetkellä (marraskuussa 2022) saatavilla olleisiin tietoihin. Tutkimuksesta saattaa tällä hetkellä olla saatavilla enemmän tietoa.

Tämä tutkimus on aiemmin toteutetun päätutkimuksen jatkotutkimus. Päätutkimus (CASTING) alkoi syyskuussa 2016 ja päättyi lokakuussa 2019. Jatkotutkimus (LIBERTO) alkoi heinäkuussa 2018 ja päättyi marraskuussa 2021.

Mikään yksittäinen tutkimus ei voi kertoa kaikkea lääkkeen riskeistä ja hyödyistä. Tarvitaan useita tutkimuksia, joihin osallistuu paljon ihmisiä, jotta kaikki tarvittava tieto saadaan selville. Tästä tutkimuksesta saadut tulokset saattavat poiketa muiden samalla lääkkeellä tehtyjen tutkimusten tuloksista.

- Siksi tämän yksittäisen yhteenvedon perusteella ei pidä tehdä päätöksiä – keskustelkaa aina lääkärin kanssa, ennen kuin teette hoitoanne koskevia päätöksiä.

Yhteenvedon sisältö

1. Yleistä tietoa tutkimuksesta
2. Keitä tutkimukseen osallistui?
3. Mitä tutkimuksen aikana tapahtui?
4. Mitkä olivat tutkimuksen tulokset?
5. Mitä haittavaikutuksia ilmeni?
6. Miten tämä tutkimus on edistänyt aihetta koskevaa tutkimustyötä?
7. Onko lisää tutkimuksia suunnitteilla?
8. Mistä löydän lisätietoa?

Kiitos kaikille tutkimukseen osallistuneille!

Tutkimukseen osallistuneet tutkittavat ovat auttaneet tutkijoita vastaamaan tärkeisiin kysymyksiin MS-taudista (multippeliskleroosista) ja tutkimuslääkkeestä. MS-tauti on sairaus, joka vaikuttaa viestien kulkuun aivoista hermoihin.

Tutkimuksen keskeiset tiedot

- Kaikki tutkittavat, jotka osallistuivat CASTING-päätutkimuksen jälkeen tähän jatkotutkimukseen, saivat okrelitsumabi-nimistä tutkimuslääkettä.
- Tässä tutkimuksessa arvioitiin, miten hyvin okrelitsumabi vähensi MS-taudin aktiivisuutta pitkällä aikavälillä MS-tautia sairastavilla henkilöillä, joilla muut MS-taudin hoidot eivät olleet tuottaneet hyvää vastetta.
- Tutkimuksen tavoitteena oli myös selvittää okrelitsumabin käytön turvallisuutta pitkällä aikavälillä.
- Tähän tutkimukseen osallistui 12 maassa 439 tutkittavaa, jotka sairastivat aaltomaista (relapsoivaa-remittoivaa) MS-tautia.
- Tärkein löydös oli, että useimmilla tutkittavilla ei todettu näyttöä taudin aktiivisuudesta (eli heillä ei ollut relapseja tai kokonaistoimintakyvyn heikkenemistä, eikä magneettikuivissa todettu merkkejä taudin aktiivisuudesta tai pahenemisesta) vähintään 4 vuoden pituisen okrelitsumabihoidon aikana.
- 4 vuoden ajan okrelitsumabia saaneista tutkittavista noin 91 %:lle (401 tutkittavalle 439:stä) ei kehittynyt vakavia haittavaikutuksia.

1. Yleistä tietoa tutkimuksesta

Miksi tämä tutkimus tehtiin?

MS-tauti on sairaus, jossa henkilön immuunijärjestelmä hyökkää omaa elimistöä vastaan (autoimmuunitauti). MS-taudissa tietyt immuunijärjestelmän solut hyökkäävät henkilön omien hermosolujen osia vastaan, joka aiheuttaa ongelmia aivojen ja muun elimistön välisessä viestinnässä. Tämä voi johtaa monenlaisiin oireisiin, jotka saattavat vaikuttaa esimerkiksi aivojen toimintaan ja liikkeisiin. Jos tautia ei hoideta tai hoidolla ei saada hyvää vastetta, nämä oireet voivat pahentua hermojen vaurioituessa yhä enemmän tai niiden kuollessa. MS-taudin hoitoon on olemassa useita eri lääkkeitä, mutta kaikki niistä eivät tehoa kaikilla henkilöillä. Siksi on erittäin tärkeää löytää hoitoja, jotka toimivat hyvin ja joihin voidaan turvallisesti siirtyä.

Okrelitsumabi on hyväksytty MS-taudin hoitoon. Aiemmassa 2 vuoden mittaisessa päätutkimuksessa osoitettiin, että okrelitsumabi vähensi MS-taudin aktiivisuutta ja oli turvallinen MS-tautia sairastavilla tutkittavilla, joiden aiempi lääkitys ei ollut tehonnut hyvin MS-taudin hoidossa. Tässä tutkimuksessa okrelitsumabin vaikutuksia ja turvallisuutta pitkällä aikavälillä arvioitiin antamalla sitä päätutkimukseen osallistuneille henkilöille vielä 2 vuoden ajan, tässä pitkän aikavälin jatkotutkimuksessa.

Mitä tutkimuslääke on?

Okrelitsumabi on MS-taudin hoitoon hyväksytty lääke.

- MS-tautia sairastavilla elimistön tietyt immuunisolut alkavat hyökätä hermoja ympäröivää suojakerrosta eli myeliiniä vastaan. Tämä aiheuttaa ongelmia aivojen ja muun elimistön välisissä yhteyksissä. Okrelitsumabi on proteiini, joka kiinnittyy tietyntyyppeisiin immuunijärjestelmän soluihin (B-soluihin). Okrelitsumabi vaikuttaa kohdennetusti näihin B-soluihin ja hävittää niitä, jolloin immuunijärjestelmä ei enää hyökkää hermosoluja ympäröivää myeliinituppea vastaan. Tämän estäminen pienentää taudin pahenemisvaiheen eli relapsin riskiä ja hidastaa taudin pahenemista (etenemistä). MS-taudin kohdalla relapsilla tarkoitetaan vähintään 24 tunnin pituista jaksoa, jonka aikana uusia oireita ilmenee tai vanhat oireet pahenevat. Kaikilla tähän tutkimukseen osallistuneilla henkilöillä oli aaltomainen eli relapsoiva-remittoiva MS-tauti (RRMS).

Tässä jatkotutkimuksessa tutkijat arvioivat okrelitsumabin käytön pitkän aikavälin vaikutuksia MS-taudin pahenemisen estämisessä tutkittavilla, joiden MS-taudin hoidossa aiemmin käytetyt lääkkeet eivät olleet tehonneet.

Mitä tutkijalääkärit halusivat selvittää?

1. Kuinka monella tutkittavalla ei todettu taudin aktiivisuutta okrelitsumabin pitkäaikaisen (4 vuotta jatkuneen) käytön jälkeen?

Muita kysymyksiä, joihin tutkijat halusivat löytää vastauksen:

2. Mitä vaikutuksia okrelitsumabilla oli pitkällä aikavälillä muihin mittareihin, kuten toimintakyvyn heikkenemiseen, relapsien määrään ja tutkittavien aivoissa todettujen vaurioiden laajuuteen?
3. Miten tutkittavat kuvasivat oireiden tai taudin vaikutusten työhön ja elämänlaatuun muuttuneen okrelitsumabihoidon aikana?
4. Kuinka turvallinen okrelitsumabi on, jos sitä käytetään pitkään?

Millainen tutkimus tämä oli?

Tämä tutkimus oli jatkoa 2 vuoden mittaiselle vaiheen 3b tutkimukselle (päättökäyttö), ja siinä saatiin lisätietoa okrelitsumabin pitkäaikaisista vaikutuksista MS-taudin aktiivisuuteen sekä okrelitsumabin pitkän aikavälin turvallisuudesta osallistujilla, joiden aiempi lääkitys ei ollut tehonnut hyvin MS-taudin hoidossa. Kaiken kaikkiaan tutkittavat saivat okrelitsumabia noin 4 vuoden ajan. Päättökäyttö ja jatkotutkimus olivat avoimia, yksihaaraisia tutkimuksia. Toisin sanoen sekä tutkimuksen osallistujat että tutkijalääkärit tiesivät, mikä tutkimuslääke oli kyseessä, eikä tutkittaville annettu mitään vertailuvalmistetta MS-taudin hoitoon.

Milloin ja missä tutkimus tehtiin?

Päätutkimus (CASTING) alkoi syyskuussa 2016 ja päättyi lokakuussa 2018. Ensimmäiset jatkotutkimukseen siirtyneet osallistujat aloittivat jatkotutkimukseen kuuluneen lääkityksen heinäkuussa 2018, ja viimeinen tutkittava lopetti jatkotutkimukseen osallistumisen marraskuussa 2021. Tämä yhteenveto on laadittu jatkotutkimuksen päättymisen jälkeen niiden tutkittavien osalta, jotka siirtyivät siihen CASTING-päätutkimuksesta.



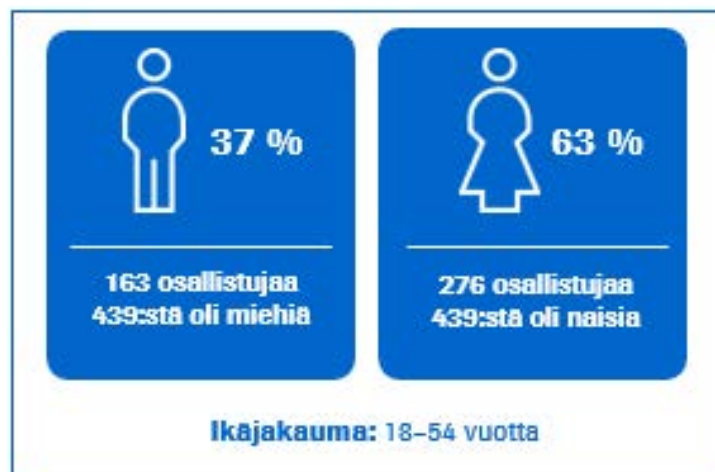
Jatkotutkimus toteutettiin maailmanlaajuisesti 95 tutkimuskeskuksessa 12 maassa Euroopassa. Seuraavaan karttaan on merkitty maat, joissa tutkimus tehtiin.



2. Keitä tutkimukseen osallistui?

Tähän jatkotutkimukseen osallistui 439 tutkittavaa, joilla oli aaltomainen MS-tauti.

Tutkimukseen osallistuneet henkilöt olivat 18–54-vuotiaita, kun he antoivat suostumuksensa päätutkimukseen osallistumiseen. Jatkotutkimuksen 439 tutkittavasta 163 (37 %) oli miehiä ja 276 (63 %) naisia. Tutkimukseen osallistui enemmän naisia, koska aaltomainen MS-tauti on naisilla yleisempi kuin miehillä.



Jatkotutkimukseen voitiin ottaa henkilöitä,

- jotka olivat aiemmin osallistuneet päätutkimukseen (CASTING) ja jatkaneet siinä loppuun asti
- joiden kohdalla neurologi katsoi, että okrelitsumabin käytön hyödyt kyseiselle henkilölle olivat suuremmat kuin hänelle koituvat riskit.

Tutkimukseen ei otettu henkilöitä,

- joille okrelitsumabi olisi haitallinen esimerkiksi, jos tutkittavalla oli ilmennyt okrelitsumabiin liittyviä vakavia haittavaikutuksia tai allergisia reaktioita päätutkimuksen aikana tai jos hänen immuunijärjestelmänsä oli hyvin heikko
- jotka toivoivat tulevansa raskaaksi tutkimuksen aikana tai 6 kuukauden kuluessa viimeisestä päätutkimuksesta saadusta okrelitsumabiannoksesta
- jotka olivat lopettaneet okrelitsumabin käytön päätutkimuksessa lukuun ottamatta potilaita, jotka tulivat raskaaksi tai imettivät mutta osallistuivat edelleen päätutkimuksen turvallisuusseurantaan.

3. Mitä tutkimuksen aikana tapahtui?

Kaikkien jatkotutkimukseen osallistuneiden tutkittavien oli osallistuttava seulontakäynnille enintään 2 viikkoa ennen tutkimuksen alkua. Kaikki okrelitsumabiannokset annettiin tiputuksena (infusiona) laskimoon. Ensimmäinen annos annettiin ensimmäisellä käynnillä, joka toteutettiin 6 kuukautta (± 2 viikkoa) päätutkimuksen viimeisen annoksen jälkeen.

Jatkotutkimuksessa tutkittavat saivat okrelitsumabia 6 kuukauden (± 2 viikon) välein 2 vuoden ajan. Suurin osa tutkimuksen osallistujista sai yhteensä kahdeksan infuusiota (näihin luettiin sekä tässä tutkimuksessa että päätutkimuksessa annetut annokset).

Jatkotutkimuksen 6 kuukauden, 1 vuoden ja 2 vuoden kohdalla osallistujille tehtiin magneettikuvaus, jonka perusteella tutkijat selvittivät, oliko aivoihin muodostunut uusia arpia tai oliko jokin jo aiemmin todettu arpi pahentunut, mikä on merkki MS-taudin etenemisestä.

Toimintakyky arvioitiin EDSS-asteikolla (Expanded Disability Status Scale) 6 kuukauden, vuoden, puolentoista vuoden ja 2 vuoden kohdalla. Tällä asteikolla mitataan MS-tautiin liittyvää fyysisen toimintakyvyn heikkenemistä välillä 0–10, ja suurempi pistemäärä tarkoittaa huonompaa toimintakykyä.

- Esimerkiksi EDSS-pistemäärä 0,0 tarkoittaa, että MS-tauti ei vaikuta henkilöön. Pistemäärä 4,0 taas viittaa merkittävään toimintakyvyn heikkenemiseen kuitenkin niin, että henkilö on omatoiminen ja pystyy olemaan jalkeilla noin 12 tuntia vuorokaudessa sekä kävelemään ilman apua ja lepäämättä 500 metriä.

Tutkimuksen alussa (lähtötilanteessa) arvioitiin myös aivojen toimintaa Symbol Digit Modalities -testillä (SDMT), joka uusittiin yhden ja kahden vuoden kohdalla. Tässä yksinkertaisessa testissä määritetään symbolien ja numeroiden avulla, miten nopeasti tutkittavat pystyvät käsittelemään edessään olevaa/saamaansa tietoa.

Tutkijoille oli myös tärkeää kerätä tutkittavien suoraan ilmoittamia tietoja. Siksi tutkittavia pyydettiin vastaamaan seuraaviin kyselyihin:

- Work Productivity and Activity Impairment (WPAI), joka antaa tutkijoille käsityksen MS-taudin vaikutuksesta työkykyyn
- SymptoMScreen, joka on MS-tautia sairastaville tarkoitettu digitaalinen työkalu oireiden dokumentointiin
- Multiple Sclerosis Impact Scale (MSIS)-29, joka koostuu fyysistä ja psyykkistä vointia koskevista kysymyksistä ja tuottaa tutkittavan elämänlaatua kuvaavan pistemäärän.

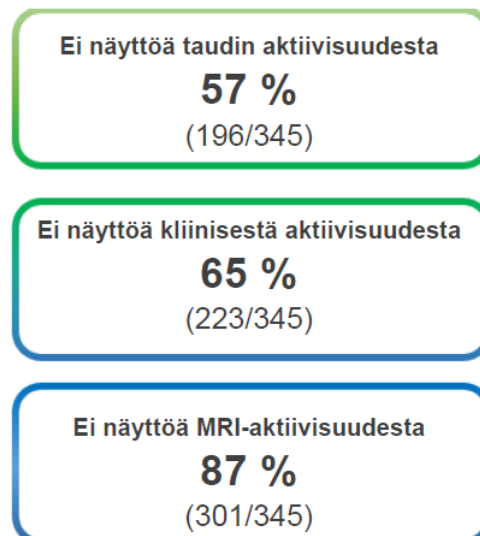
Tutkittavia, joiden oli tarkoitus siirtyä käyttämään jotakin muuta MS-lääkettä, ja niitä, jotka olivat saaneet jatkotutkimuksen päätökseen eivätkä aikoneet jatkaa okrelitsumabin käyttöä, pyydettiin osallistumaan tutkimuskeskuksessa lisäkäynneille yleisen terveydentilan tarkistamista varten. Jäljempänä kerrotaan tarkemmin, mitä tutkimuksessa tapahtui.

4. Mitkä olivat tutkimuksen tulokset?

Kysymys 1: Kuinka monella tutkimukseen osallistujalla ei todettu MS-taudin aktiivisuutta okrelitsumabin pitkäaikaisen käytön jälkeen?

Tutkijat tarkastelivat niiden tutkittavien määrää, joilla ei todettu MS-taudin aktiivisuutta:

- Tauti ei ollut kliinisesti aktiivinen (ei relapseja tai toimintakyvyn heikkenemistä) eikä aivoissa todettu tulehdusaktiivisuutta tai vaurioita (magneettikuvauksissa ei havaittu merkkejä tulehdusaktiivisuudesta tai lisääntyvistä vaurioista aivoissa). Monilla tutkittavilla ei todettu näyttöä taudin aktiivisuudesta niiden 4 vuoden aikana, jolloin he saivat okrelitsumabihoitoa.
- 57 %:lla tutkittavista ei todettu näyttöä taudin aktiivisuudesta kliinisesti eikä magneettikuvauksissa 4 vuoden kuluttua
- 65 %:lla tutkittavista ei todettu MS-taudin kliinistä aktiivisuutta 4 vuoden kuluttua
- 87 %:lla tutkittavista ei todettu aktiivisuutta magneettikuvauksissa 4 vuoden kuluttua. Tähän laskelmaan ei otettu mukaan päätutkimuksen ensimmäistä okrelitsumabiannosta seuraavien 2 kuukauden aikajaksoa, koska okrelitsumabin täyden tehon saavuttaminen vie vähintään 2 kuukautta.



Yllä olevassa kuvassa mainitaan yhteensä 345 tutkittavaa, vaikka jatkotutkimuksessa aloitti 439 henkilöä. Tämä johtuu siitä, että osa tutkittavista päätti lopettaa tutkimukseen osallistumisen ennenaikaisesti:

- käyttääkseen okrelitsumabia tutkimuksen ulkopuolella (yhdessä maassa tutkimus päättyi ennenaikaisesti)
- haittavaikutusten vuoksi
- siirryttyään käyttämään jotakin muuta MS-lääkettä.

Kysymys 2: Mitä vaikutuksia okrelitsumabilla oli pitkällä aikavälillä muihin mittareihin, kuten toimintakyvyn heikkenemiseen, relapsien määrään ja tutkittavien aivoissa todettujen vaurioiden laajuuteen?

Tutkijat arvioivat myös okrelitsumabihoiton vaikutusta muihin mittareihin.

Tutkijat tarkastelivat okrelitsumabin käytön vaikutusta toimintakyvyn heikkenemiseen EDSS-pistemäärän perusteella:

- Keskimääräiset EDSS-pistemäärät eivät juurikaan muuttuneet 4 vuoden pituisen hoitojakson aikana, ja pistemäärät pysyivät pieninä
 - Kokonaistoimintakyky pysyi ennallaan 66 %:lla tutkittavista
- Toimintakyvyn paraneminen määriteltiin EDSS-pistemäärän pienenemiseksi vähintään 0,5 pisteellä
 - 15 %:lla tutkittavista toimintakyky parani hoitojakson aikana
- Toimintakyvyn heikkeneminen määriteltiin EDSS-pistemäärän suurenemiseksi vähintään 0,5 pisteellä
 - 19 %:lla tutkittavista toimintakyky heikkeni hoitojakson aikana.

Tässä tutkimuksessa relapsilla tarkoitettiin ajanjaksoja, jolloin ilmeni uusia MS-taudin oireita tai MS-taudin oireet pahenivat.

- Yli 84 %:lla tutkittavista ei todettu lainkaan relapseja tutkimuksen päättymiseen mennessä.

Tutkijat selvittivät, miten okrelitsumabihoito vaikutti magneettikuvauksella todettaviin vaurioihin aivoissa.

- Kun tarkasteltiin kahta MS-tautiin liittyvää arpimuodostustyyppiä aivoissa, 97 %:lla ja 87 %:lla tutkittavista ei todettu merkkejä tällaisista vaurioista aivoissa varhaisimmalla käynnillä eli 2 kuukauden kuluttua tutkimuksen aloittamisesta otetuissa magneettikuvissa.

Tutkijat tarkastelivat okrelitsumabin käytön vaikutusta aivojen toimintaan SDMT-testillä.

- SDMT-testissä saadut pistemäärät paranivat jokaisella käynnillä 4 vuoden jakson aikana. Aivojen toiminta oli tutkimuksen loppuun mennessä kaiken kaikkiaan 8 % parempi kuin päätutkimuksen alussa.

Kysymys 3: Miten tutkittavat kuvasivat oireiden tai taudin vaikutusten työhön ja elämänlaatuun muuttuneen okrelitsumabihoiton aikana?

Oli myös tärkeää kerätä suoraan tutkittavilta tietoa siitä, miten okrelitsumabin käyttö vaikutti heidän MS-tautiinsa ja millainen vaikutus sillä oli heidän arkielämäänsä, jotta saatiin käsitys lääkkeen tehosta.

- 4 vuoden okrelitsumabihoiton jälkeen WPAI-kyselyiden tuloksista todettiin, että MS-tauti vaikutti tutkittavien työkykyyn aiempaa vähemmän.

- SymptoMScreen-kyselyissä tutkittavat ilmoittivat jokaisella käyntikerralla, että MS-taudin oireet vaikeuttivat päivittäisiä toimintoja aiempaa vähemmän.
- MSIS-29-kyselyiden mukaan osallistujat kokivat elämänlaatunsa kokonaisuutena parantuneen, kun MS-tautia oli hoidettu okrelitsumabilla 4 vuoden ajan.

Kysymys 4: Kuinka turvallinen okrelitsumabi on, jos sitä käytetään pitkään (4 vuotta)?

Tutkijat keräsivät tietoa myös haittavaikutuksista, joita tutkittavilla ilmeni 4 vuoden okrelitsumabihoidon aikana. Näin pyrittiin saamaan käsitys lääkkeen turvallisuudesta pidempikestoisen käytön aikana. Alla on kuvattu tarkemmin haittavaikutuksia. Kaiken kaikkiaan okrelitsumabin todettiin olevan turvallinen myös pidempään kestävässä käytössä.

5. Mitä haittavaikutuksia ilmeni?

Haittavaikutukset ovat ei-toivottuja terveyshaittoja, joita ilmenee tutkimuksen aikana (esim. päänsärky).

- Tässä yhteenvedossa kerrotaan haittavaikutuksista, jotka tutkijalääkärin mielestä liittyivät tutkimushoitoihin.
- Kaikilla tutkimuksen osallistujilla ei ilmennyt kaikkia kuvattuja haittavaikutuksia.

Vakavat ja yleiset haittavaikutukset on lueteltu jäljempänä.

Vakavat haittavaikutukset

Haittavaikutusta pidetään vakavana, jos se on henkeä uhkaava, vaatii sairaalahoitoa tai aiheuttaa pitkäkestoisia ongelmia.

Neljän vuoden okrelitsumabihoidon aikana 38:lla tutkittavalla 439:stä (9 %:lla) ilmeni vähintään yksi vakava haittavaikutus.

Yleisimmät tutkimuksen osallistujilla ilmenneet vakavat haittavaikutukset esitetään seuraavassa taulukossa:

Tässä tutkimuksessa ilmoitetut vakavat haittavaikutukset	Okrelitsumabia saaneet tutkittavat (yhteensä 439 tutkittavaa)
Infektio	3 % (12/439)
Aivoihin ja hermostoon liittyvät ongelmat	1 % (6/439)
Maha- ja suolistovaivat	1 % (5/439)
Syövät	Alle 1 % (4/439)

Jatkotutkimuksen aikana osa tutkittavista päätti lopettaa lääkkeen käytön haittavaikutusten vuoksi.

- Jatkotutkimuksessa yhteensä 439 tutkittavaa sai okrelitsumabia, ja heistä viisi (1 %) lopetti lääkkeen käytön haittavaikutusten vuoksi.

Yleisimmät haittavaikutukset

Neljän okrelitsumabihoitovuoden aikana 407 tutkittavalla 439:stä (93 %:lla) ilmeni jokin haittavaikutus, jonka ei katsottu olevan vakava.

Jatkotutkimuksen kahden vuoden aikana ei havaittu uuden tyyppisiä haittavaikutuksia verrattuna päätutkimukseen.

Yleisimmät haittavaikutukset esitetään seuraavassa taulukossa. Näitä viittä yleisintä haittavaikutusta ilmeni yli 10 %:lla koko hoitoryhmän tutkittavista:

Yleisimmät tässä tutkimuksessa ilmoitetut haittavaikutukset	Okrelitsumabia saaneet tutkittavat (yhteensä 439 tutkittavaa)
Infuusion liittyvä reaktio	44 % (194/439)
Nenän ja nielun limakalvon turvotus ("vilustuminen")	29 % (126/439)
Päänsärky	23 % (100/439)
Influenssa (nenän, nielun ja keuhkojen infektiio)	19 % (81/439)
Munuaisten, virtsarakon tai virtsateiden infektiio (VTI)	16 % (70/439)

Muut haittavaikutukset

Muista haittavaikutuksista (joita ei ole kuvattu edellisissä kohdissa) on saatavilla tietoa tämän yhteenvedon lopussa luetelluilla verkkosivustoilla – ks. kohta 8.

6. Miten tämä tutkimus on edistänyt aihetta koskevaa tutkimustyötä?

Nämä tulokset auttoivat tutkijoita saamaan lisätietoa MS-taudista ja okrelitsumabin käytöstä MS-tautia sairastavilla henkilöillä, joilla aiempi lääkehoito oli ollut riittämätön.

Neljän vuoden pituisen okrelitsumabihoidon jälkeen MS-taudin aktiivisuus oli vähentynyt useimmilla tutkittavilla. Okrelitsumabin käyttöön liittyviä vakavia haittavaikutuksia todettiin vain muutamalla tutkittavalla 4 vuoden jakson aikana, eikä useimpien haittavaikutusten katsottu olleen vakavia. Uusia turvallisuussignaaleja ei havaittu päätutkimukseen verrattuna hoidettaessa tutkittavia jatkotutkimuksessa okrelitsumabilla vielä 2 vuoden ajan. Kaiken kaikkiaan okrelitsumabin pitkäaikainen käyttö (4 vuoden ajan) MS-taudin hoidossa osoittautui tehokkaaksi ja turvalliseksi.

Tutkimuksen rajoituksena oli muun muassa se, että kyseessä oli avoin, yksihaarainen tutkimus, jossa tutkittavat tiesivät, mitä lääkettä saivat. Tutkimuksessa ei myöskään ollut mitään muuta lääkettä, johon okrelitsumabin vaikutuksia olisi verrattu. Tutkijat eivät siis eivätsi voi arvioida, miten okrelitsumabin vaikutukset vertautuisivat jonkin muun MS-lääkkeen käyttöön tai siihen, että mitään MS-läkettä ei käytettäisi.

Mikään yksittäinen tutkimus ei voi kertoa kaikkea lääkkeen riskeistä ja hyödyistä. Tarvitaan useita tutkimuksia, joihin osallistuu paljon ihmisiä, jotta kaikki tarvittava tieto saadaan selville. Tästä tutkimuksesta saadut tulokset saattavat poiketa muiden samalla lääkkeellä tehtyjen tutkimusten tuloksista.

- Siksi tämän yksittäisen yhteenvedon perusteella ei pidä tehdä päätöksiä – keskustelkaa aina lääkärin kanssa, ennen kuin teette hoitoanne koskevia päätöksiä.

7. Onko lisää tutkimuksia suunnitteilla?

Okrelitsumabin turvallisuutta ja tehoa MS-taudin hoidossa arvioidaan myös muissa tutkimuksissa, joista osa on meneillään ja jotkin ovat jo päättyneet. Lisätietoja on saatavilla alla luetelluista lähteistä. Tässä yhteenvedossa esitetään löydöksiä jatkotutkimuksesta, jonka tutkittavat olivat aiemmin osallistuneet CASTING-päätutkimukseen. Jatkotutkimus on edelleen meneillään, ja siihen osallistuu tutkittavia eräästä toisesta päätutkimuksesta.

8. Mistä löydän lisätietoa?

Voitte hakea tätä tutkimusta koskevaa lisätietoa seuraavilta sivustoilta:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03599245>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2017-004886-29/HR>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/multiple-sclerosis/this-is-an-extension-study-of-the-roche-p-trial-to-inve-91061.html>

Kehen voin ottaa yhteyttä, jos minulla on kysyttävää tästä tutkimuksesta?

Jos Teillä on kysyttävää tämän yhteenvedon lukemisen jälkeen:

- Käykää Rochen ForPatients-alustalla ja täyttäkää yhteydenottolomake – <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/bc/a-study-of-taselisib---fulvestrant-versus-placebo---ful-29454.html>
- Ottakaa yhteyttä Roche-yhtiön paikalliseen edustajaan.

Jos osallistuitte tähän tutkimukseen ja Teillä on kysyttävää tuloksista:

- Keskustelkaa tutkimussairaalan tai tutkimuskeskuksen tutkijalääkärin tai henkilökunnan kanssa.

Jos Teillä on kysyttävää omasta hoidostanne:

- Keskustelkaa hoidostanne vastaavan lääkärin kanssa.

Kuka tutkimuksen toteutti ja kustansi?

Tutkimuksen toteutti ja kustansi F. Hoffmann-La Roche Ltd, jonka pääkonttori on Sveitsin Baselissa.

Tutkimuksen koko nimi ja muut tunnistetiedot

Tutkimuksen koko nimi on "Tutkimus, jossa arvioidaan okrelitsumabin tehoa ja turvallisuutta MS-tautia sairastavilla tutkittavilla, jotka ovat aiemmin osallistuneet F. Hoffmann-La Rochen toimeksiantamaan okrelitsumabia koskevaan kliiniseen tutkimukseen".

Tutkimuksesta käytetään nimeä LIBERTO.

- Tutkimuskoodi on MN39158.
- Tutkimuksen tunniste ClinicalTrials.gov-sivustolla on NCT03599245.
- Tutkimuksen EudraCT-numero on 2017-004886-29.

Päätutkimuksen koko nimi on "Okrelitsumabia koskeva tutkimus aaltomaista multippeliskleroosia (aaltomaista MS-tautia) sairastavilla tutkittavilla, jotka eivät ole saaneet riittävää vastetta asianmukaisesti toteutettuun taudinkulkua muuntavaan hoitoon" ['A study of ocrelizumab in participants with relapsing remitting multiple sclerosis (RRMS) who had a suboptimal response to an adequate course of disease-modifying treatment (DMT)'].

Tutkimuksesta käytetään nimeä CASTING.

- Tutkimuskoodi on MA30005.
- Tutkimuksen tunniste ClinicalTrials.gov-sivustolla on NCT02861014.
- Tutkimuksen EudraCT-numero on 2015-005597-38.
- Yhteenveto tutkimustuloksista löytyy täältä:
https://forpatients.roche.com/content/dam/patient-platform/CASTING%20Lay%20Person%20Summary_final.pdf
- Tarkempaa tietoa tästä tutkimuksesta löytyy täältä: [Efficacy and safety of ocrelizumab in patients with relapsing-remitting multiple sclerosis with suboptimal response to prior disease-modifying therapies: A primary analysis from the phase 3b CASTING single-arm, open-label trial - PubMed \(nih.gov\)](#)