

Klinikai vizsgálati eredmények

Marguerite RoAD vizsgálat a gantenerumab biztonságosságának és hatásosságának értékelésére korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél

A klinikai vizsgálat teljes címét lásd az összefoglaló végén.

Az összefoglalóról

Ez egy klinikai vizsgálat (amelyre a dokumentum további részében „vizsgálat”-ként hivatkozunk) eredményeinek összefoglalója, amely a következők számára készült:

- a nyilvánosság és
- a vizsgálatban részt vevő személyek

Ez az összefoglaló a megírás idején ismert információk alapján készült.

A Marguerite RoAD vizsgálat, amelyet két részben folytattak le, 2014 márciusában indult és 2021 áprilisában fejeződött be. Ez az összefoglaló a vizsgálat befejezése után íródott, és a vizsgálat 2. részének végső eredményeit mutatja be, amelyek teljes körű elemzése elkészült.

Ez a vizsgálat a gantenerumab nevű gyógyszert értékelte az Alzheimer-kór kezelésében (az agy olyan betegsége, amely a memóriát és egyéb agyi funkciókat érint). Az eredeti vizsgálat (1. rész) egy kettős vak vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy sem a vizsgálat résztvevői, sem a vizsgálóorvosok nem tudták, hogy ki kap gantenerumabot, és ki kap placebót. Az 1. rész idő előtt 2015 novemberében fejeződött be, miután a gantenerumab hasonló dózisait vizsgáló másik kutatás (SCarlet RoAD vizsgálat) megállapította, hogy a vizsgált dózisok esetén a gantenerumab nem működött olyan jól a placebohoz képest, mint ahogy azt várták.

A SCarlet RoAD vizsgálatból származó információkat felhasználva a Marguerite RoAD vizsgálat 1. részét idő előtt leállították és felváltották egy nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat (2. rész), amely a gantenerumab magasabb dózisait vizsgálta.

Önmagában egyetlen vizsgálat sem képes mindent feltárni egy gyógyszer kockázatairól és előnyeiről. Sok vizsgálat és sok résztvevő szükséges ahhoz, hogy minden szükséges információt kiderítsenek. A jelen vizsgálat eredményei eltérhetnek az ugyanezen gyógyszerrel folytatott más vizsgálatok eredményeitől.

Ez azt jelenti, hogy ne hozzon döntéseket kizárólag a jelen összefoglaló alapján – mindig beszéljen orvosával, mielőtt bármilyen kezeléssel kapcsolatos döntést meghoz.

Az összefoglaló tartalma

1. Általános információk a vizsgálatról
2. Kik vettek részt ebben a vizsgálatban?
3. Mi történt a vizsgálat során?
4. Mik voltak a vizsgálat eredményei?
5. Milyen mellékhatások fordultak elő?
6. Hogyan segítette elő ez a vizsgálat a kutatást?
7. Terveznek-e más vizsgálatokat is?
8. Hol találok további információkat?

Szójegyzék

- Nyílt elrendezésű vizsgálat = olyan vizsgálat, amely során a vizsgálóorvosok és a résztvevők is tudják, hogy a résztvevő milyen kezelést kap
- ARIA-E = képalkotó felvételen látható folyadékgyülem az agyban, mellékhatásokkal vagy azok nélkül
- ARIA-H = képalkotó vizsgálat kimutatott kismértékű vérzés az

agyban,
mellékhatásokkal vagy
azok nélkül

Köszönetünket fejezzük ki azoknak, akik részt vettek ebben a vizsgálatban

A vizsgálatban résztvevő személyek és családjuk, valamint gondozóik sokat segítettek a kutatóknak, hogy választ kapjanak az Alzheimer-kórral és a vizsgált gyógyszerrel, a gantenerumabbal kapcsolatos fontos kérdésekre – például, hogy biztonságos-e az Alzheimer-kórban szenvedő betegek számára a gantenerumab kezelés.

Fontos információk a vizsgálatról

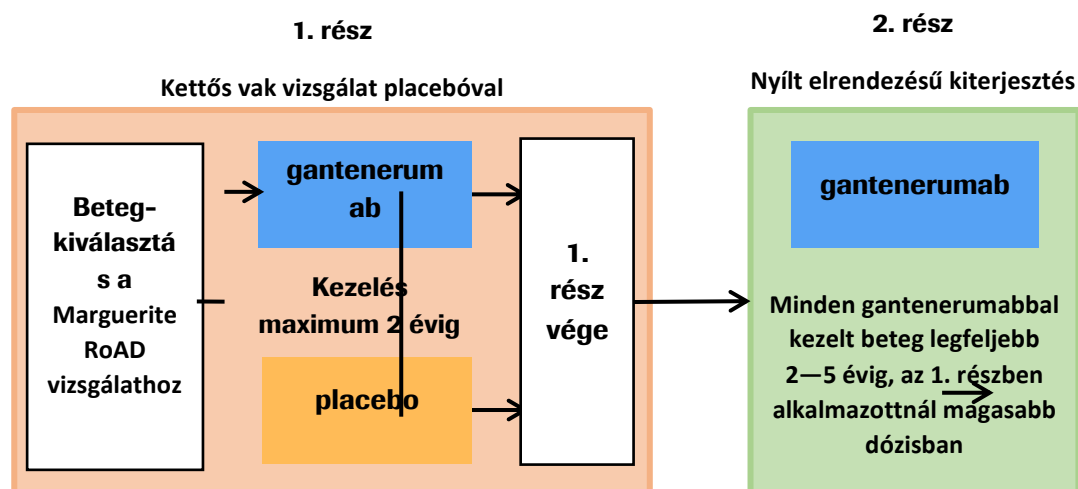
- A Marguerite RoAD vizsgálat két részből állt.
 - A vizsgálat 1. része kettős vak vizsgálat volt, és a gantenerumab nevű új, kísérleti gyógyszert hasonlította össze placebo készítménnyel korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknek. A placebo készítmény ugyanúgy néz ki, mint a gyógyszer, de nem tartalmaz hatóanyagot. Ez azt jelenti, hogy nincsen semmilyen gyógyszerrel összefüggő hatása a szervezetre. Placebo készítményt azért használnak, hogy a résztvevők és a vizsgálóorvosok ne tudják, hogy a résztvevő valódi gyógyszert kap-e vagy sem. Erre azért van szükség, mert annak ismerete, hogy a résztvevők valódi gyógyszert kapnak-e, olykor befolyásolhatja a vizsgálat eredményeit.
 - A vizsgálat 2. része egy nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat volt, amely során a vizsgálat 1. részében résztvevő személyek magasabb dózisú gantenerumabot kaptak, mint korábban a vizsgálat 1. részben.
- A Marguerite RoAD vizsgálat 1. részében 387 személy vett részt és kapott placebót vagy gantenerumabot. Az 1. részt befejező résztvevőknek felajánlották a lehetőséget, hogy részt vehetnek a vizsgálat 2. részében, amelyben minden résztvevő legfeljebb további 5 évig kap gantenerumabot.
- A Marguerite RoAD vizsgálat 1. részét felváltotta a 2. rész, miután a SCarlet RoAD vizsgálat adataiból megállapították, hogy a gantenerumabot jól tolerálták a résztvevők (a gantenerumabot kapó résztvevőknél hasonló mellékhatásokat figyeltek meg, mint a placebót kapó résztvevőknél), de a vizsgált dózisok mellett (105 mg/hónap és 225 mg/hónap) nem valószínű, hogy hatékony a gantenerumab-kezelés (nem valószínű, hogy segít a korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknek), és magasabb dózisban lehet szükséges ahhoz, hogy hatásos legyen az Alzheimer-kórban szenvedő betegek számára. Mivel a Marguerite RoAD vizsgálat 1. része ugyanezeket a gantenerumab dózisokat vizsgálta (105 mg/hónap és 225 mg/hónap), átalakították egy nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálatra (OLE) (2. rész), amelyben a vizsgálat 1. részének résztvevőit magasabb dózisú (1200 mg/hónap) gantenerumabbal kezelték.
- A 2. rész 225 résztvevője közül 117 személy kapott korábban placebót, és 108 résztvevő kapott gantenerumabot a vizsgálat 1. része során.
- A vizsgálat 2. részének eredményei azt mutatták, hogy:
 - A magasabb dózisú gantenerumab-kezelést általánosságban jól tolerálták a résztvevők.
 - Összességében a gantenerumabot kapó betegek 60%-a tapasztalt legalább egy kezeléssel összefüggő mellékhatást. A mellékhatások többségét jól tolerálták, azokat könnyű volt kezelni, és a résztvevők felépültek belőlük, hasonlóan a vizsgálat 1. részében tapasztaltakhoz.
 - Azoknál a résztvevőknél, akiket magasabb dózisú gantenerumabbal kezelték, eltelt idővel kevesebb amiloidot (az Alzheimer-kórral összefüggő, potenciálisan káros fehérje) mutattak ki az agyban.

1. Általános információk a vizsgálatról

Miért végezték el ezt a vizsgálatot?

Vizsgálatok kimutatták, hogy az Alzheimer-kórban szenvedőknél rendellenesen magas egy bizonyos fehérje, az amiloid szintje. Ez a fehérje képes összetapadni és csoportokat (oligomer) és csomókat (amiloid plakk) alkotni az agyban.

A Marguerite RoAD vizsgálat 1. részének az volt a célja, hogy kiderítsék, a gantenerumab nevű új gyógyszer képes-e lelassítani az amiloid képződését az agyban, illetve képes-e lassítani a tünetek súlyosbodását. A 2. részben a vizsgálóorvosok azt akarták megtudni, hogy a korábbi vizsgálatokban alkalmazottnál magasabb dózisban is biztonságos-e a gantenerumab.



Melyik gyógyszert vizsgálták?

A Marguerite RoAD vizsgálat a gantenerumab nevű gyógyszert vizsgálta.

- A gantenerumab egy célzott kezelés, úgynevezett antitest. Arra fejlesztették ki, hogy segítsen az immunrendszernek specifikusan felismerni az Alzheimer-kórral összefüggő káros amiloid fehérjét.
- Ez azt jelenti, hogy a gantenerumab képes lehet lassítani az amiloid fehérje felhalmozódását az agyban, és befolyásolhatja a tünetek súlyosbodását.
- A gyógyszert szubkután injekció formájában adják be, vagyis bőr alá injektálják.

A vizsgálat 1. részében a 150 mg/hónap és 225 mg/hónap dózisú gantenerumabot a placebo készítménnyel hasonlították össze.

- A placebo készítmény ugyanúgy néz ki, mint a gyógyszer, de nem tartalmaz hatóanyagot. Ez azt jelenti, hogy nem volt semmilyen gyógyszerrel összefüggő hatása a szervezetre.
- A vizsgálóorvosok azért hasonlították össze a gyógyszert a placebóval, hogy meg tudják állapítani, mely előnyök és mellékhatások voltak betudhatók a gyógyszernek.

A vizsgálat 2. részében a gantenerumab magasabb dózisát vizsgálták (1200 mg/hónap).

Mit akartak kideríteni a vizsgálóorvosok?

- Korábbi vizsgálatok azt sugallták, hogy a gantenerumab hatékonyabb kezelés lehet az Alzheimer-kór korai szakaszában, mint a betegség előrehaladottabb állapotában.
- A gantenerumab egy másik vizsgálata kimutatta, hogy a Marguerite RoAD vizsgálat 1. részében is vizsgált alacsonyabb dózisok alkalmazása esetén nem valószínű, hogy gantenerumab a placebóhoz képest annyival jobb eredményeket mutat, mint ahogy azt várták, így a 2. részben a vizsgálóorvosok hosszabb távú információkat akartak gyűjteni arról, hogy:
 - Hosszú távon mennyire biztonságos a magasabb dózisú gantenerumab alkalmazása
 - A résztvevők szervezete hogyan tolerálja hosszú távon a gantenerumabot

A vizsgálóorvosok az alábbi fő kérdésekre keresték a választ:

1. A 2. részben milyen mellékhatásai vannak a gantenerumabnak, ha 5 éven át minden hónapban magasabb dózisban alkalmazzák korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél?
2. A 2. részben hogyan hat a gantenerumab az Alzheimer-kór tüneteire és az agyban keletkező amiloid fehérjére, ha 5 éven át minden hónapban magasabb dózisban alkalmazzák korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél?

Milyen típusú volt ez a vizsgálat?

Ez egy „3-as fázisú” vizsgálat volt. Ez azt jelenti, hogy a gantenerumabot ennek a vizsgálatnak az elindítása előtt már tesztelték kisszámú résztvevőkön, akik Alzheimer-kórban szenvedtek.

A vizsgálat 1. részében, nagyobb számú Alzheimer-kórban szenvedő résztvevő kapott gantenerumabot vagy placebót – ennek az volt a célja, hogy többet megtudjanak a gantenerumab mellékhatásairól, és arról, hogy a gantenerumab képes-e enyhíteni az Alzheimer-kór tüneteit. Az 1. rész egy kettős vak vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy sem a vizsgálat résztvevői, sem a vizsgálóorvosok nem tudták, hogy egy adott résztvevő gantenerumabot vagy placebót kapott-e. A vizsgálat 1. részét a tervezettnél előbb felváltotta a 2. rész, mivel egy elemzés kimutatta, hogy az 1. részben alkalmazott dózisok mellett nem valószínű, hogy a gantenerumab hatékony (nem valószínű, hogy segít az Alzheimer-kórban szenvedőkön).

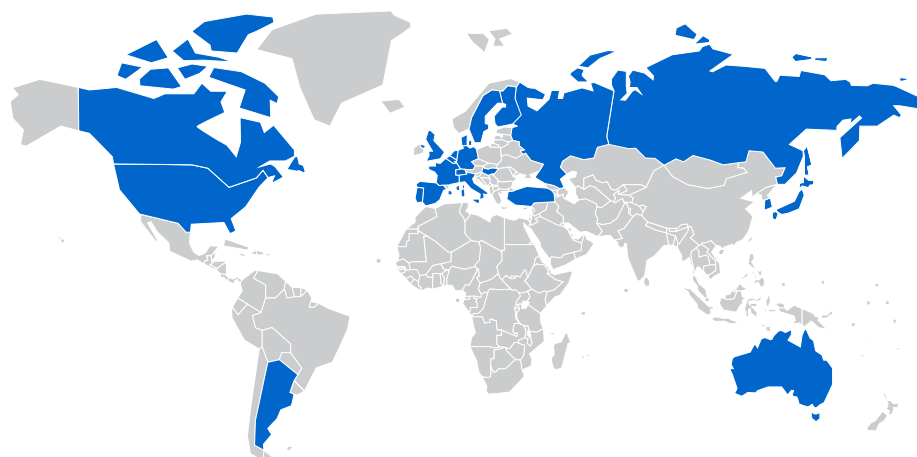
A 2. rész egy nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat (OLE) volt. Ez azt jelenti, hogy a résztvevők és a vizsgálóorvosok is tudták, hogy minden résztvevő gantenerumabot kapott. Minden, a vizsgálat 1. részében (amikor az 1. részt átalakították a 2. résszé) aktív kezelést kapott résztvevő kaphatott magasabb dózisú gantenerumabot.

Mikor és hol folytatták le a vizsgálatot?

A Marguerite RoAD vizsgálat 2014 márciusában indult, és 2021 áprilisában fejeződött be. Ez az összefoglaló a vizsgálat befejezése után került megírásra.

A vizsgálat 1. része mintegy 30 országban 225 vizsgálati központban zajlott le. Ebből a 225 vizsgálohelyből 75 vizsgálohely vett részt a vizsgálat 2. részének lefolytatásában 17 országban.

Az alábbi térkép mutatja azokat az országokat, amelyek a vizsgálat bármelyik részében részt vettek. Ezek a következő országok voltak:



- Argentína
- Ausztrália
- Belgium
- Kanada
- Dánia
- Finnország
- Franciaország
- Németország
- Magyarország
- Olaszország
- Japán
- Portugália
- Oroszország
- Dél-Korea
- Spanyolország
- Svédország
- Svájc
- Hollandia
- Törökország
- Egyesült Királyság
- Amerikai Egyesült Államok

2. Kik vettek részt ebben a vizsgálatban?

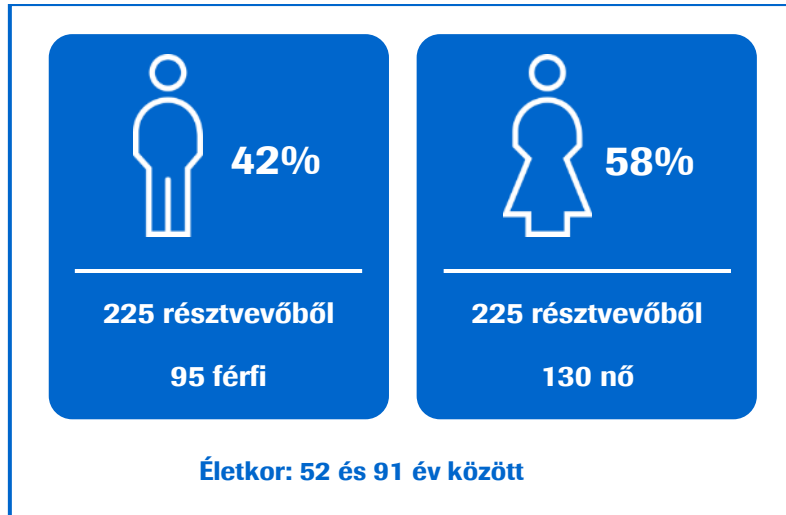
Marguerite RoAD vizsgálat, 1. rész

- 387 korai Alzheimer-kórban szenvedő résztvevő kapott gantenerumabot vagy placebót.

Marguerite RoAD vizsgálat, 2. rész

- A vizsgálat 1. részének résztvevői közül összesen 225 korai Alzheimer-kórban szenvedő beteg döntött úgy, hogy a vizsgálat 2. részében is részt vesz.
- A 2. részben résztvevő betegek életkora 52 év és 91 év között volt.
- 108 résztvevő (48%) kapott korábban gantenerumabot, és 117 résztvevő (52%) kapott korábban placebót az 1. rész során.

A Marguerite RoAD vizsgálat 2. részének résztvevői



A résztvevők akkor tudtak belépni a nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálatba (2. rész), ha:

- Megfeleltek az 1. rész kritériumainak (pl. korai Alzheimer-kórban szenvedtek, 50 és 90 év közötti életkor)
- A vizsgálat 1. részében aktívan részt vettek, amikor az 1. rész átalakult nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálattá (2. rész)

A résztvevők **nem** léphettek be a vizsgálat 2. részébe, ha:

- Az 1. rész során kiestek a vizsgálatból

3. Mi történt a vizsgálat során?

Marguerite RoAD vizsgálat, 1. rész

A vizsgálat 1. része során egy számítógépes program osztotta be véletlenszerű alapon, hogy melyik résztvevő milyen kezelést kap. A vizsgálat ezen része kettős vak vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy a vizsgálat egyetlen résztvevője sem tudta, hogy gantenerumabot vagy placebót kapnak-e. A vizsgálatok „vakosítására” azért van szükség, hogy egyértelműen látszódjon egy gyógyszer hatása, és el lehessen különíteni azoktól a hatásoktól, amelyek a résztvevők elvárásaiból adódnának – ha tudnák, hogy melyik gyógyszert kapják.

A vizsgálat 1. részét idő előtt leállították, mivel egy hasonló vizsgálat (SCarlet RoAD vizsgálat) tervezett gyógyszerhatékonysági elemzése megállapította, hogy a vizsgálatokban alkalmazott dózisok esetén a gantenerumab nem volt olyan hatékony, mint ahogyan azt várták. Miután a résztvevők befejezték a vizsgálati gyógyszer vagy a placebo szedését, megkérték őket, hogy vegyenek részt további viziteken a vizsgálóhelyen általános egészségi állapotuk ellenőrzése céljából. A vizsgálati folyamatára bemutatja a vizsgálat tervezett szakaszait.

Marguerite RoAD vizsgálat, 2. rész

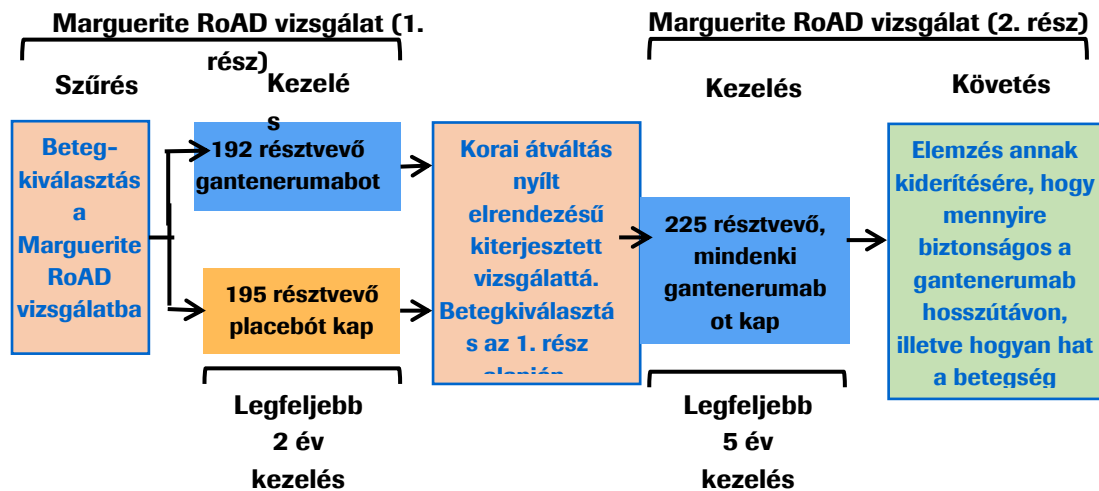
Azok a betegek, akik részt vettek a Marguerite RoAD vizsgálat 1. részében és folytatták a vizsgálati gyógyszer szedését, meghívást kaptak a vizsgálat 2. részébe, ahol minden résztvevő gantenerumabot kapott.

A vizsgálat célja az volt, hogy hosszú távú információt gyűjtsenek arról, hogy:

- A résztvevők szervezete hogyan tolerálja hosszú távon a gantenerumab magasabb dózisát
- A gantenerumab hogyan befolyásolja az Alzheimer-kór lefolyását, ha az eredeti vizsgálat 1. részében alkalmazottnál magasabb dózisban adják

A vizsgálat 2. része nyílt elrendezésű vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy résztvevők és a vizsgálóorvosok is tudták, hogy minden résztvevő gantenerumabot kapott a vizsgálat ezen részében. A résztvevők fokozatosan egyre magasabb dózisban kapták (feltitrálva) a gantenerumabot addig, amíg elérték a legmagasabb vizsgálni kívánt dózist. A vizsgálat 2. része egy önkéntes alvizsgálatot is magában foglalt, amelyben orvosi képzőképző eljárásokkal vizsgálták, hogy eltelt idővel hogyan változott az agyban az amiloid fehérje szintje a gantenerumab hatására.

A Marguerite RoAD vizsgálat elrendezése



4. Mik voltak a vizsgálat eredményei?

1. kérdés: A vizsgálat 2. részében milyen mellékhatásai vannak a gantenerumabnak, ha 5 éven át magasabb dózisban alkalmazzák korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél?

A Marguerite RoAD vizsgálat a gantenerumab biztonságosságát az alapján értékelte, hogy a vizsgálat során hány mellékhatás, más néven „nemkívánatos esemény” fordult elő a résztvevők körében, különös tekintettel a súlyos mellékhatásokra.

A mellékhatások vagy „nemkívánatos események” nemkívánt egészségügyi panaszok (pl. fejfájás), amelyek egy gyógyszer vagy placebo alkalmazása miatt következhetnek be. Ebben az összefoglalóban leírjuk azokat a mellékhatásokat, amelyek a vizsgálóorvosok szerint a vizsgálati kezeléssel állnak összefüggésben.

A résztvevők által észlelt mellékhatások ebben a vizsgálatban egyéneként különbözően jelentkeztek.

A mellékhatások egyénenként eltérően jelentkezhetnek, és néha súlyosnak tekinthetők. Súlyos mellékhatásnak azok a mellékhatások, amelyek életveszélyes állapotot vagy olyan állapotot idéznek elő, amely azonnali kezelést vagy kórházi ápolást tesz szükségessé.

A mellékhatások és súlyos mellékhatások nem szükségszerűen állnak összefüggésben a vizsgálati kezeléssel.

Előfordulhat, hogy a mellékhatások a vizsgálati kezeléssel összefüggésben alakulnak ki. Ezek a mellékhatások a vizsgálati időszak során jelentkeznek, és a vizsgálóorvosok szerint összefüggenek a kezeléssel.

Fontos megjegyezni, hogy az itt felsorolt mellékhatások ebből az egyetlen vizsgálatból származnak. Ezért az itt bemutatott mellékhatások eltérhetnek azoktól, amelyeket más vizsgálatok során megfigyeltek.

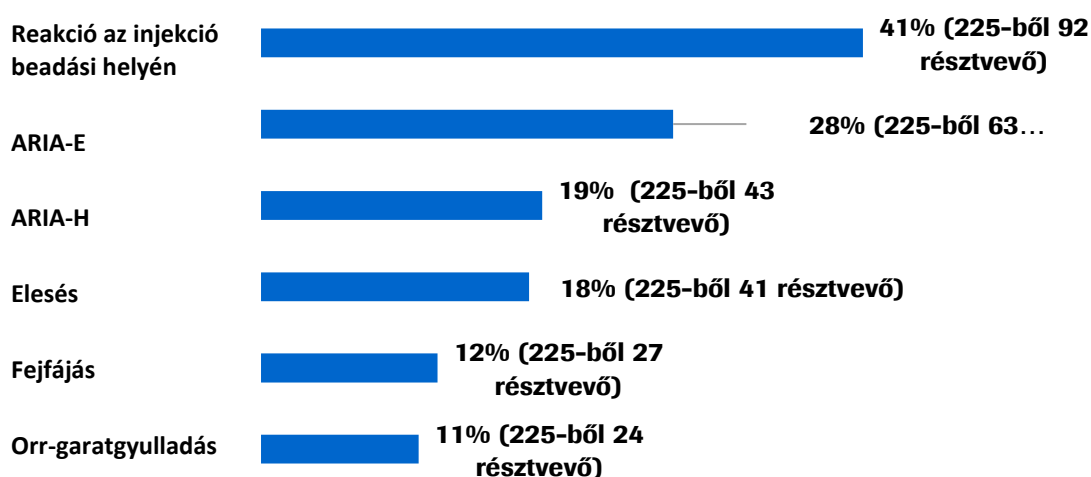
A vizsgálat azt mutatta, hogy a résztvevők jól tolerálták a gantenerumab vizsgált dózisait. A vizsgálat során jelentett valamennyi mellékhatás hasonló volt azokhoz, amelyekről a gantenerumab más vizsgályaiban beszámoltak. A mellékhatások többsége enyhe vagy közepesen súlyos formában jelentkezett, vagyis, ha kezelésre volt szükség, könnyű volt kezelni azokat, és a résztvevők felépültek azokból.

A 2. részben részt vevő 225 gantenerumabbal kezelt beteg közül 210 résztvevőnél (93%) jelentkezett legalább egy mellékhatás. Ennél a 210 résztvevőnél összesen 2028 mellékhatás fordult elő. A 2. rész során hasonló mellékhatásokról számoltak be, mint amelyeket azok tapasztaltak, akik korábban gantenerumabot vagy placebót kaptak (1. rész).

Résztvevők száma, akiknél mellékhatás jelentkezett a vizsgálat során

	A 2. részben 225 résztvevőből (akik mind gantenerumabot kaptak)	Az 1. részben 117 résztvevőből, akik placebót kaptak	Az 1. részben 108 résztvevőből, akik gantenerumabot kaptak
Legalább egy mellékhatás	93% (225-ből 210)	92% (117-ből 107)	95% (108-ből 103)
Súlyos mellékhatások	31% (225-ből 70)	25% (117-ből 29)	38% (108-ből 41)
Mellékhatások, amelyek a vizsgálóorvosok szerint összefüggtek a vizsgálati kezeléssel	60% (225-ből 136)	58% (117-ből 68)	63% (108-ből 68)

A vizsgálat során leggyakrabban előforduló mellékhatások (a résztvevők több mint 10%-ánál fordult elő)



Egyes mellékhatások gyakrabban fordultak elő, mint mások. A fenti ábra összefoglalja a leggyakoribb mellékhatásokat, amelyek legalább a résztvevők 10%-ánál fordultak elő.

- **Reakció az injekció beadási helyén:** reakció azon a helyen, ahol a gyógyszert a bőr alá fecskendezték. Ide tartoznak az injekciós beadás helye környékén jelentkező pirosság, bőrküetés vagy duzzanat.
- **Képzőanyagvizsgálattal kimutatható amiloiddal összefüggő eltérések (ARIA):** olyan mellékhatások csoportja, amely a gantenerumabhoz hasonló gyógyszerrel kezelt betegeknél jelentkezett, és amely kimutatható agyi képzőanyagvizsgálattal. Az ARIA két típusa az ARIA-E, amely az agyban kialakult folyadékgyülem, és az ARIA-H, amely kismértékű vérzés az agyban. Ebben a vizsgálatban az ARIA-E nem minden esetben okozott mellékhatásokat. Amikor előfordultak az ARIA-E mellékhatások, azok nem voltak súlyosak.
- **Orr-garatgyulladás:** az orrjáratok és torok duzzanata – közismert néven „megfázás”.

A vizsgálati gyógyszerrel összefüggő mellékhatások

A vizsgálat 2. részében 225 gantenerumabot kapó résztvevőből 136 résztvevőnél (60%) figyeltek meg vizsgálati kezeléssel összefüggő mellékhatásokat.

A leggyakoribb kezeléssel összefüggő mellékhatások a következők voltak: injekciós beadás helyén fellépő reakciók 80 résztvevőnél (36%), agyban kialakuló folyadékgyülem (ARIA-E) 59 résztvevőnél (26%) és kisebb vérzés az agyban (ARIA-H) 41 betegnél (18%). Ezeknek a kezeléssel összefüggő mellékhatásoknak a többsége enyhe vagy közepesen súlyos intenzitású volt.

Súlyos mellékhatások

Ezen vizsgálat során egyéneként eltérően jelentkeztek a résztvevőknél a mellékhatások.

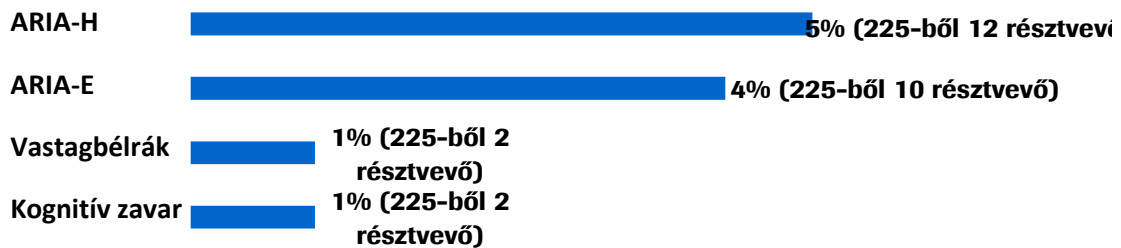
Egy mellékhatást akkor tekintünk „súlyosnak”, ha életveszélyes állapotot idéz elő, kórházi ellátásra van szükség, vagy tartós problémákat okoz.

A vizsgálat 2. részében 225 résztvevőből 70-en (31%) tapasztaltak legalább egy súlyos mellékhatást. Összesen 97 súlyos mellékhatást jelentettek.

Nem minden súlyos mellékhatás állt összefüggésben a gantenerumab kezeléssel. 225 résztvevőből 11 résztvevőnél (5%) jelentkezett legalább egy súlyos mellékhatás, amely a vizsgálóorvosok szerint a gantenerumab kezeléssel állt összefüggésben. Ezek a következők voltak:

- Agyban kialakuló folyadékgyülem (ARIA-E)
- Kismértékű vérzés az agyban (ARIA-H)
- Vérömleny az agy és koponya között (szubdurális hematóma)
- Sztrók
- Gyakori görcsroham (epilepszia)
- A test egyik felét érintő gyengeség vagy bénulás (hemiplegia)
- Vérzés a vastagbélben
- Mentális egészségügyi problémák, például viselkedési vagy érzelmi zavarok

Olyan mellékhatások, amelyek miatt több mint 1 résztvevőnek kellett abbahagynia a vizsgálati kezelést



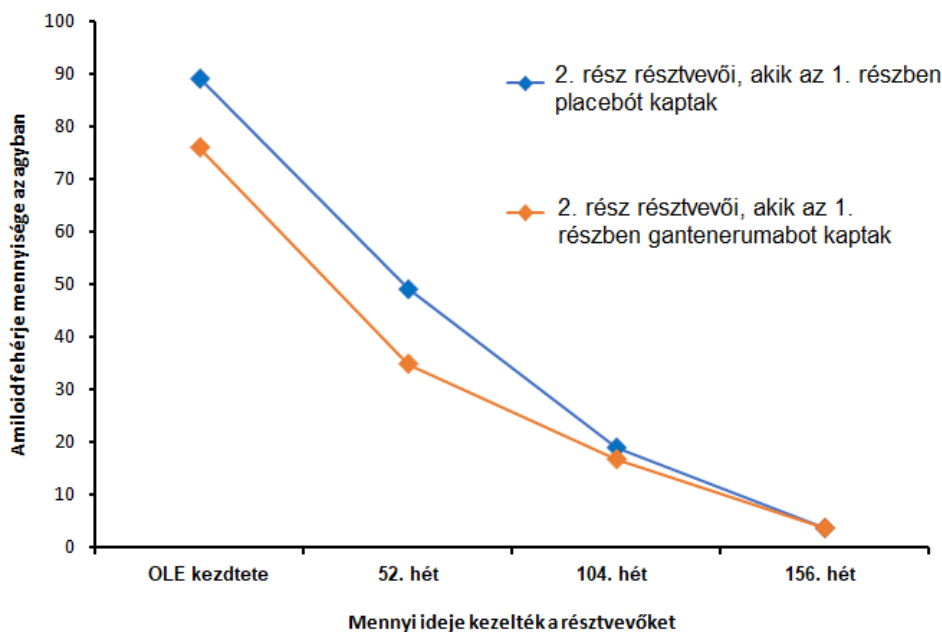
A gantenerumabbal kezelt betegek közül 31 résztvevőnél (14%) összesen 41 olyan mellékhatás alakult ki, ami miatt abba kellett hagyni a kezelést. Kizárólag az ARIA-H (12 résztvevő), az ARIA-E (10 résztvevő), kognitív rendellenességek (2 résztvevő) és a vastagbélrák (2 résztvevő) voltak olyan mellékhatások, amelyek miatt több mint egy résztvevőnek kellett abbahagynia a kezelést. A vizsgálati előírások miatt azok a betegek, akiknél túl sokszor jelentkezett ARIA-H, abba kellett hagyni a kezelést.

A vizsgálat 2. része alatt összesen 10 résztvevő (4%) halt meg. A vizsgálóorvosok szerint egyik halálozás sem a vizsgálati készítménnyel történt kezelés miatt következett be.

2. kérdés: [Hogyan hat a magasabb dózisú gantenerumab az Alzheimer-kór tüneteire és az agyban keletkező amiloid fehérjére, ha 5 éven át alkalmazzák korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél?](#)

A vizsgálóorvosok szerették volna kideríteni, hogy a magasabb dózisokban adott gantenerumab hogyan hat az agyban keletkező amiloid fehérjére az eltelt idővel a korai Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél.

- Kiszámú önkéntes részt vett a vizsgálat 2. részének egy további alvizsgálatában. Ezeknél a résztvevőknél agyi képfelvételeket készítettek, amelyeken megnézték, hogy eltelt idővel hogyan változott az amiloid fehérje mennyisége az agyban.
- Idővel csökkent a résztvevők agyában az amiloid fehérje mennyisége, ami kedvezően hathat az Alzheimer-kór tüneteire.
- A 2. rész 104. hete után az Alzheimer-kóros betegek agyában az amiloid fehérje szintje hasonlóan alakult azokéhoz képest, akik nem szenvednek ebben a betegségben.



Ez a fejezet csak ennek a vizsgálatnak a legfontosabb eredményeit ismerteti. Más eredményekről a jelen összefoglaló végén felsorolt honlapokon és publikációkban olvashat (lásd 8. fejezet).

5. Milyen mellékhatások fordultak elő?

Ennek a vizsgálatnak a középpontjában a gantenerumab biztonságossága és mellékhatásai álltak. A mellékhatások teljes körű ismertetése a 4. fejezetben olvasható.

Egyéb mellékhatások

Más mellékhatásokról (amelyek nem szerepelnek a fenti fejezetekben) az összefoglaló végén felsorolt honlapokon olvashat (lásd 8. fejezet).

6. Hogyan segítette elő ez a vizsgálat a kutatást?

Az itt bemutatott információk a Marguerite RoAD vizsgálat 2. részéből származnak, amely egy 225 Alzheimer-kórban szenvedő beteg részvételével lefolytatott nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat volt. Ezeknek az eredményeknek köszönhetően a vizsgálóorvosok többet megtudtak az Alzheimer-kórra adott gantenerumab-kezelés hatásairól. A vizsgálatból származó eredmények azt mutatták, hogy a magasabb dózisokban adott gantenerumabot jól tolerálták az Alzheimer-kóros betegek.

Önmagában egyetlen vizsgálat sem képes mindent feltárni egy gyógyszer kockázatairól és előnyeiről. Sok vizsgálat és sok résztvevő szükséges ahhoz, hogy minden szükséges információt kiderítsenek. A jelen vizsgálat eredményei eltérhetnek az ugyanezen gyógyszerrel folytatott más vizsgálatok eredményeitől.

- **Ez azt jelenti, hogy ne hozzon döntéseket kizárólag a jelen összefoglaló alapján – mindig beszéljen orvosával, mielőtt bármilyen kezeléssel kapcsolatos döntést meghoz.**

7. Terveznek-e más vizsgálatokat is?

Továbbra is folynak vizsgálatok a gantenerumabbal, és további vizsgálatokat is terveznek. Ezek közé tartoznak az alábbi vizsgálatok:

- Korai Alzheimer-kórban szenvedő betegek (ClinicalTrials.gov azonosítók: NCT03444870 és NCT03443973)
- Korai Alzheimer-kórban szenvedő betegek, vagy olyanok, akiknél fennál az öröklött Alzheimer-kór kockázata (ClinicalTrials.gov azonosító: NCT01760005)
- Hosszú távú gyógyszerbiztonsági vizsgálatok más klinikai vizsgálatokat elvégzők számára (ClinicalTrials.gov azonosítók: NCT04374253 és NCT04339413)
- Otthoni beadás (ClinicalTrials.gov azonosító: NCT04592341)

8. Hol találok további információkat?

Erről a vizsgálatról további információkat az alább felsorolt honlapokon olvashat:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT02051608>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2013-003390-95>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/ad/a-study-of-gantenerumab-in-participants-with-mild-alzhe-16675.html>

Ha szeretne még többet megtudni ennek a vizsgálatnak az eredményeiről, olvassa el az alábbi [angol nyelvű] tudományos cikket: “Gantenerumab reduces amyloid- β plaques in patients with prodromal to moderate Alzheimer's disease: a PET substudy interim analysis”. A tudományos cikk szerzői: Gregory Klein, Paul Delmar, Nicola Voyle, Sunita Rehal, Carsten Hofmann és munkatársaik. A cikk az „Alzheimer's Reseracher and Therapy” nevű tudományos folyóirat 11. számában jelent meg.

További információk [angol nyelven]: “Thirty-Six-Month Amyloid Positron Emission Tomography Results Show Continued Reduction in Amyloid Burden with Subcutaneous Gantenerumab”. A tudományos cikk szerzői: Gregory Klein, Paul Delmar, Geoffrey A. Kerchner, Carsten Hofmann, Danielle Abi-Saab és munkatársaik. A cikk a „The Journal of Prevention of Alzheimer's Disease” nevű tudományos folyóirat 8. számában jelent meg.

Kivel léphetek kapcsolatba, ha kérdésem van a vizsgálattal kapcsolatban?

Ha az összefoglaló elolvasása után további kérdései vannak:

- Látogassa meg a ForPatients platformot és töltsse ki a kapcsolatfelvételi nyomtatványt – <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/ad/a-study-of-gantenerumab-in-participants-with-mild-alzhe-16675.html>
- Keresse a Roche helyi irodájának képviselőjét.

Ha részt vett ebben a vizsgálatban, és kérdései vannak a vizsgálat eredményeivel kapcsolatban:

- Beszéljen a vizsgálati kórház vagy klinika vizsgálóorvosával vagy a vizsgálati személyzettel.

Ha a saját kezelésével kapcsolatban vannak kérdései:

- Beszéljen a kezelőorvosával.

Ki szervezte meg és finanszírozta ezt a vizsgálatot?

A vizsgálatot a bázeli székhelyű (Svájc) F. Hoffmann-La Roche Ltd szervezte meg és finanszírozta.

A vizsgálat teljes címe és egyéb azonosító információk

A vizsgálat teljes címe: „A gantenerumab III. fázisú, randomizált, kettős vak, placebo kontrolllos, párhuzamos csoportos, multicentrikus, hatásossági és gyógyszerbiztonsági vizsgálata enyhe Alzheimer-kórban szenvedő betegeknél; 2. rész: nyílt elrendezésű kiterjesztett vizsgálat a résztvevők számára”.

A vizsgálat elnevezése: Marguerite RoAD vizsgálat.

- A vizsgálati terv száma: WN28745.
- A vizsgálat ClinicalTrials.gov azonosítója: NCT02051608.
- A vizsgálat EudraCT száma: 2013-003390-95.