

Sammenfatning af kliniske forsøgsresultater

Et forsøg til at finde ud af, om et nyt lægemiddel (RO7297089) er sikkert og effektivt for mennesker med kræft (multipelt myelom)

Se slutningen af sammenfatningen for forsøgets fulde titel.

Om denne sammenfatning

Dette er en sammenfatning af resultaterne af et klinisk forsøg (kaldet et "forsøg" i dette dokument).

Denne sammenfatning er skrevet til:

- Medlemmer af offentligheden
- Personer, som deltog i forsøget

Denne sammenfatning er baseret på information, der kendes i skrivende stund.

Forsøget startede i juli 2020 og stoppede tidligt – i juli 2021 – fordi det lægemiddel, der blev undersøgt, ikke virkede så godt som forventet.

Intet enkelt forsøg kan fortælle os alt om risici og fordele ved et lægemiddel. Det kræver mange mennesker i mange forsøg at finde ud af alt, hvad vi har brug for at vide. Resultaterne fra dette forsøg kan være forskellige fra andre forsøg med det samme lægemiddel.

- **Det betyder, at du ikke bør træffe beslutninger baseret på denne sammenfatning.**
- **Tal altid med din læge, før du træffer nogen beslutninger om din behandling.**

Sammenfatningens indhold

1. Generelle oplysninger om dette forsøg
2. Hvem deltog i dette forsøg?
3. Hvad skete der under forsøget?
4. Hvad var resultaterne af forsøget?
5. Hvad var bivirkningerne?
6. Hvordan har dette forsøg hjulpet forskningen?
7. Er der planer om andre forsøg?
8. Hvor kan jeg finde flere oplysninger?

Tak til dem, der deltog i dette forsøg

De personer, som deltog, har hjulpet forskerne med at besvare vigtige spørgsmål om en bestemt type kræft kaldet "multipelt myelom" og forsøgslægemidlet "RO7297089".

Vigtige oplysninger om dette forsøg

- Dette forsøg blev udført for at finde ud af, hvor sikkert det var at give folk et nyt lægemiddel, om lægemidlet var effektivt, og hvordan lægemidlet opførte sig i kroppen.
- Personer med kræft (multipelt myelom) fik forsøgslægemidlet, der hedder "RO7297089".
- Dette forsøg omfattede 27 personer i 4 lande.
- Hovedresultatet var, at lægemidlet ikke var så effektivt, som forskerne havde forventet. Bivirkningerne var generelt tålelige for personerne i dette forsøg.
- Seks af de 27 personer (22 %) i dette forsøg havde alvorlige bivirkninger, som menes at være forårsaget af forsøgslægemidlet.
- Dette forsøg stoppede tidligt, fordi det lægemiddel, der blev undersøgt, ikke virkede så godt som forventet.

1. Generelle oplysninger om dette forsøg

Hvorfor blev dette forsøg udført?

Multipelt myelom er en type kræft, der påvirker knoglemarven i flere dele af kroppen. Kræften skyldes vækst og ophobning af usunde (**defekte**) plasmaceller. Sunde plasmaceller findes hovedsageligt i knoglemarven, hvor de danner antistoffer for at dræbe bakterier.

Omkring 160.000 mennesker over hele verden diagnosticeres med multipelt myelom hvert år. Plasmaceller hos personer med multipelt myelom bliver overfyldte og påvirker andre blodcellers funktion. De syge plasmaceller producerer også proteiner, der forårsager problemer i forskellige dele af kroppen.

Multipelt myelom kan ikke helbredes. Adskillige lægemidler kan hjælpe med at forlænge levetiden for en person med multipelt myelom. Personer med "standardrisiko"-multipelt myelom lever i cirka 8-10 år, og personer med "høj risiko"-multipelt myelom lever i cirka 2-3 år efter diagnosen.

For de fleste patienter med multipelt myelom vender sygdommen tilbage – patienten får et "**tilbagefald**". Sygdommen kan også ikke reagere på tilgængelige lægemidler – sygdommen bliver "**refraktær**".

Nye lægemidler er nødvendige for personer med multipelt myelom. Dette forsøg blev udført for at finde ud af, om et nyt lægemiddel mod multipelt myelom, kaldet "RO7297089", var sikkert og effektivt for patienter med multipelt myelom.

Hvilket lægemiddel blev undersøgt?

Forsøgslægemidlet blev kaldt "**RO7297089**".

- RO7297089 er en type lægemiddel, der kaldes en "**immunterapi**" - den opmuntrer kroppens immunceller til at angribe kræftceller.
- RO7297089 er et "**bispecifikt antistof**" - det er et protein, der binder sig til to forskellige proteinmål i kroppen.
- Et mål er et protein kaldet "**BCMA**". BCMA findes på plasmaceller. Det er overudtrykt på defekte plasmaceller hos patienter med multipelt myelom. BCMA lader plasmacellerne leve i lange perioder.
- Et andet mål er et protein kaldet "**CD16a**". CD16a findes på forskellige immunceller i blodet (makrofager, naturlige dræberceller og monocytter).
- Når RO7297089 binder sig til BCMA og CD16a, fanger lægemidlet immunceller og plasmaceller. Dette gør det muligt for immuncellerne at dræbe de kræftfremkaldende plasmaceller.

Hvad ønskede forskerne at finde ud af?

Det var første gang, forsøgslægemidlet blev givet til mennesker.

De vigtigste spørgsmål, som forskerne ønskede at besvare, var:

1. Hvor sikkert var det at give folk forskellige doser af forsøgslægemidlet?
2. Hvor meget forsøgslægemiddel var tilgængeligt i kroppen på forskellige tidspunkter med forskellige doser?
3. Udviste kræften nogen respons på forsøgslægemidlet?

Hvilken type forsøg var dette?

Dette var et "**fase 1-forsøg**", hvilket betyder, at dette var et af de tidlige forsøg for RO7297089. Et lille antal personer med multipelt myelom fik forsøgslægemidlet. Forskere udførte medicinske undersøgelser og observerede personerne for at finde ud af mere om lægemidlets virkninger.

Dette var et "**ikke-blindet forsøg**". Det betyder, at forskerne og de mennesker, der deltog i forsøget, vidste, hvilket lægemiddel og hvilken dosis, der blev givet til personerne.

Dette var et "**dosisoptrappingsforsøg**". Hver ny gruppe mennesker fik en højere dosis forsøgslægemiddel. Udlevering af den næste højere dosis forsøgslægemiddel blev kaldt "dosisoptræning". Beslutningen om dosisoptræning blev taget efter gennemgang af resultater fra alle tidligere doserede personer ved de lavere dosisniveauer.

Hvornår og hvor fandt forsøget sted?

Forsøget startede i juli 2020 og stoppede tidligt, fordi RO7297089 ikke virkede så godt som forventet. Denne sammenfatning præsenterer resultaterne af forsøget, indtil det blev stoppet i juli 2021.

Forsøget fandt sted på 10 forsøgscentre – i 4 lande:

Australien (5 centre)

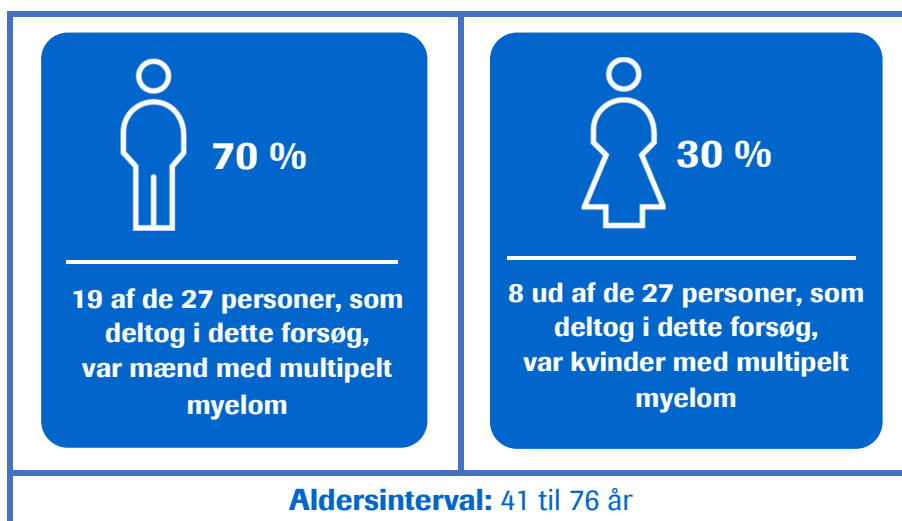
Belgien (2 centre)

Danmark (2 centre)

Norge (1 center)

2. Hvem deltog i dette forsøg?

Syvogtve personer, som havde multipelt myelom – deltog i dette forsøg.



Personer kunne deltage i forsøget, hvis:

- De var mindst 18 år gamle og havde recidiveret/refraktær multipelt myelom, for hvilken der ikke var nogen behandling tilgængelig.
- De underskrev en informeret samtykkeerklæring og var i stand til at gøre, hvad der var påkrævet under forsøget.
- De var i stand til at udføre fysiske aktiviteter på et niveau, der forventes for dette forsøg.
- De havde en forventet levetid på mindst 12 uger.
- Deres multipelt myelom-sygdom kan måles ved at udføre laboratorietests på serum- og urinprøver.
- Undersøgelser viste, at de havde normale calciumniveauer i blodet og tilstrækkelig organfunktion (lever, blod og nyre).

Personer kunne ikke deltage i forsøget, hvis:

- De var gravide, ammende eller havde planlagt en graviditet, mens de deltog i forsøget.
- De har tidligere fået visse former for kræftmedicin eller medicin, som bremser immunsystemet.
- De har for nylig fået stamcelletransplantation.
- Multipelt myelom-sygdomsniveauet (plasmacelletælling) var for højt, eller sygdommen havde udviklet sig til hjernen.
- De havde visse hjerte- eller lungesygdomme eller visse andre kræftformer.
- De havde visse infektioner.
- De havde fået en vaccine, som indeholdt levende virus – når som helst i løbet af de 4 uger før forsøget.
- De har haft stof- eller alkoholmisbrug inden for de sidste 12 måneder.
- De fik foretaget en større operation inden for 4 uger af forsøget eller havde til hensigt at få foretaget en operation i løbet af forsøget.
- De havde ukontrollerede smerter forårsaget af kræften.

3. Hvad skete der under forsøget?

Lægerne undersøgte (**screenede**) de personer, som ønskede at deltage i forsøget. Hvis deltagerne opfyldte betingelserne for at deltage i forsøget, startede de forsøget inden for 28 dage efter screening.

Personer fik RO7297089 ved hjælp af drop – også kaldet “intravenøs (**IV**) infusion”.

Personer i gruppen med den laveste dosis fik forsøgslægemidlet først.

Læger observerede personer i hver ny dosisgruppe i 14 dage, før de lod personer i den næste højere dosisgruppe få forsøgslægemidlet – hvis lægerne mente, at det var sikkert at give mennesker den højere dosis.

Dosisgrupper	Hvordan blev forsøgslægemidlet givet?
Gruppe 1A Dosis = 60 mg Antal personer = 3	Personer fik deres dosis intravenøst en gang om ugen. De fik en " flad dosis ". Det betyder, at lægemidlet blev givet i én omgang, og at alle i samme gruppe fik den samme dosis – uanset hvor meget personerne vejede.
Gruppe 2A Dosis = 180 mg Antal personer = 5	
Gruppe 3A Dosis = 360 mg Antal personer = 4	
Gruppe 4A Dosis = 1080 mg Antal personer = 6	
Gruppe 4B Dosis = 1080 mg Antal personer = 6	Folk fik deres dosis intravenøst en gang om ugen. De fik deres første dosis som en " opdelt dosis " – den fulde dosis blev opdelt og givet i to omgange, over to dage.
Gruppe 5B Dosis = 1850 mg Antal personer = 3	Startende med den anden dosis blev hver dosis givet i en omgang.

Personer var nødt til at stoppe forsøgsbehandlingen, hvis deres multipelt myelom-sygdom blev værre. Derudover kunne de når som helst udgå af forsøget.

Efter at personer holdt op med at få forsøgslægemidlet, blev de bedt om at vende tilbage til deres forsøgscenter til flere besøg. Forskere kontrollerede deres almene helbred i mindst 90 dage efter ophør med forsøgslægemidlet.

4. Hvad var resultaterne af forsøget?

Spørgsmål 1: Hvor sikkert var det at give personer forskellige doser af forsøgslægemidlet?

Blandt 27 personer, som blev behandlet, fik 14 personer (52 %) en bivirkning, som forskere mente var forårsaget af forsøgslægemidlet.

Forskere kiggede på alle dataene fra forsøget og besluttede, at dette forsøg viste, at RO7297089 var veltolereret af personerne i dette forsøg – op til den højeste dosis, der blev testet i dette forsøg – 1850 mg.

Resultaterne kan være forskellige i andre forsøg – det vil kræve mange personer i mange forsøg at lære mere om forsøgslægemidlet.

Spørgsmål 2: Hvor meget forsøgslægemiddel var tilgængeligt i kroppen på forskellige tidspunkter med forskellige doser?

Den største mængde RO7297089 blev fundet i kroppen – i serum – efter afslutning af den intravenøse transfusion og op til 4 timer derefter.

For forskellige doser tog det forskellig tid, før niveauet af RO7297089 faldt til halvdelen af spidsniveauet. Denne "tid til halvt spidsniveau" varierede fra over en dag til under 7 dage – for de forskellige doser.

Spørgsmål 3: Udviste kræften nogen respons på forsøgslægemidlet?

Forskere undersøgte 25 ud af 27 personer for at finde ud af, om forsøgslægemidlet var nyttigt for multipelt myelom, når det blev brugt alene (som en enkelt behandling).

To ud af 25 personer (7 %) med multipelt myelom reagerede på behandling. Yderligere to (7 %) viste en smule respons (minimalt).

Forskere stoppede forsøget tidligt, fordi responsresultaterne ikke var, hvad de havde forventet at se med dette forsøgslægemiddel.

Afsnit 4 viser kun de vigtigste resultater fra dette forsøg. Du kan finde oplysninger om alle andre resultater på webstederne i slutningen af denne sammenfatning (se afsnit 8).

5. Hvad var bivirkningerne?

Bivirkninger er helbredsproblemer (såsom svimmelhed), der forekom under forsøget.

- De er beskrevet i denne sammenfatning, fordi forsøgslægen mener, at bivirkningerne var relateret til behandlingen i forsøget.
- Ikke alle personer i dette forsøg havde alle bivirkningerne.
- Bivirkninger kan være milde til meget alvorlige og kan være forskellige fra person til person.
- Det er vigtigt at være opmærksom på, at de bivirkninger, der rapporteres her, er fra dette ene forsøg. Derfor kan de bivirkninger, der er vist her, være forskellige fra dem, der ses i andre forsøg, eller dem, der angives på lægemidlets indlægsseddel.
- Alvorlige og almindelige bivirkninger er anført i de følgende afsnit.

Alvorlige bivirkninger

En bivirkning anses for at være "alvorlig", hvis den er livstruende, kræver hospitalsbehandling eller forårsager varige problemer.

I løbet af dette forsøg havde 6 ud af de 27 personer (22 %) mindst én alvorlig bivirkning.

De alvorlige bivirkninger er vist i følgende tabel. Nogle personer havde mere end én bivirkning – det betyder, at de er inkluderet i mere end én række i tabellen.

Antal (og procent) personer	Alvorlige bivirkninger
6 personer (22 %)	En reaktion på infusionen af forsøgslægemidlet (infusionsrelaterede reaktioner)
2 personer (7 %)	Stærkt immunrespons i kroppen (cytokinfrigivelsessyndrom)
1 person (4 %)	Feber (pyreksi)

Der var 12 personer i forsøget, som døde. Ingen af dødsfaldene mentes at være forårsaget af forsøgslægemidlet.

- Ti personer døde, fordi multipelt myelom-sygdommen blev værre (sygdomsprogression).
- En person døde på grund af nyresvigt.
- En person døde af andre årsager.

Under forsøget stoppede 2 personer (7 %) forsøgslægemidlet på grund af bivirkninger forårsaget af lægemidlet.

Mest almindelige bivirkninger

I løbet af dette forsøg havde 14 ud af de 27 personer (52 %) en bivirkning, som ikke blev betragtet som alvorlig – men som menes at være forårsaget af forsøgslægemidlet.

De mest almindelige bivirkninger – dem, der forekom hos 2 eller flere personer – er vist i følgende tabel. Nogle personer havde mere end én bivirkning – det betyder, at de er inkluderet i mere end én række i tabellen.

Antal (og procent) personer	Mest almindelige bivirkning
10 personer (37 %)	En reaktion på infusionen af forsøgslægemidlet (infusionsrelaterede reaktioner)
4 personer (14 %)	Unormale leverprøver (forhøjet alaninaminotransferase og aspartataminotransferase)
3 personer (11 %)	Inflammation i kroppen (C-reaktivt protein øget)
2 personer (7 %)	Unormale leverprøver (forhøjet gammaglutamyltransferase)
2 personer (7 %)	Stærkt immunrespons i kroppen (cytokinfrigivelsessyndrom)

Andre bivirkninger

Du kan finde oplysninger om andre bivirkninger (ikke vist i ovenstående afsnit) på de websteder, der er anført i slutningen af denne sammenfatning – se afsnit 8.

6. Hvordan har dette forsøg hjulpet forskningen?

Oplysningerne, der præsenteres her, er fra et enkelt forsøg med 27 personer med multipelt myelom. Disse resultater hjalp forskere med at lære mere om multipelt myelom og RO7297089.

Respons på behandling med RO7297089 anvendt alene (enkelt behandling) hos personer med multipelt myelom var ikke som forventet. Forskere stoppede forsøget før tiden og tilmeldte ikke (tilføjede) flere personer til forsøget.

Intet enkelt forsøg kan fortælle os alt om risici og fordele ved et lægemiddel. Det kræver mange personer i mange forsøg at finde ud af alt, hvad vi har brug for at vide. Resultaterne fra dette forsøg kan være forskellige fra andre forsøg med det samme lægemiddel.

- **Det betyder, at du ikke bør træffe beslutninger baseret på denne sammenfatning.**
- **Tal altid med din læge, før du træffer nogen beslutninger om din behandling.**

7. Er der planer om andre forsøg?

Når denne oversigt skrives, er der ikke planlagt flere forsøg med RO7297089.

8. Hvor kan jeg finde flere oplysninger?

Du kan finde flere oplysninger om dette forsøg på nedenstående websteder:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT04434469>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/multiple-myeloma/a-study-evaluating-the-safety-and-pharmacokinetics-of-e-39731.html>

Hvem kan jeg kontakte, hvis jeg har spørgsmål om dette forsøg?

Hvis du har yderligere spørgsmål, efter du har læst denne sammenfatning:

- Besøg ForPatients-plattformen og udfyld kontaktformularen – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Kontakt en repræsentant på det lokale Roche-kontor.

Hvis du deltog i dette forsøg og har spørgsmål om resultaterne:

- Tal med forsøgslægen eller -personalet på forsøgshospitalet eller klinikken.

Hvis du har spørgsmål om din egen behandling:

- Tal med den læge, der er ansvarlig for din behandling.

Hvem organiserede og betalte for dette forsøg?

Dette forsøg blev organiseret og betalt af Genentech, Inc., South San Francisco, CA, USA. Genentech er en del af F. Hoffmann-La Roche Ltd. med hovedkvarter i Basel, Schweiz.

Forsøgets fulde titel og andre identificerende oplysninger

Forsøgets fulde titel er:

Et ikke-blindet, multicenter, fase 1-forsøg til evaluering af sikkerhed og farmakokinetik ved stigende doser af RO7297089 hos patienter med recidiverende eller refraktær multipelt myelom.

- Protokolnummeret for dette forsøg er GO41582.
- ClinicalTrials.gov-identifikatoren for dette forsøg er NCT04434469.
- EudraCT-nummeret for dette forsøg er 2019-003540-76.