

Sammendrag av resultater fra klinisk studie

En studie for å finne ut om et nytt legemiddel (R07297089) er trygt og effektivt for personer med kreft (myelomatose)

Se slutten av sammendraget for fullstendig studietittel.

Om dette sammendraget

Dette er et sammendrag av resultatene fra en klinisk utprøving (kalt en «studie» i dette dokumentet).

Dette sammendraget er skrevet for:

- Medlemmer av allmennheten
- Personer som deltok i studien

Dette sammendraget er basert på informasjon som var kjent på opprettelsestidspunktet.

Studien startet i juli 2020 og stoppet tidlig, i juli 2021, fordi medisinen som ble studert ikke fungerte like godt som forventet.

Ingen enkeltstudie kan fortelle oss alt om risikoene og fordelene med et legemiddel. Det krever mange mennesker i mange studier for å finne ut alt vi trenger å vite. Resultatene fra denne studien kan avvike fra andre studier med samme legemiddel.

- **Dette betyr at du ikke bør ta avgjørelser basert på dette sammendraget.**
- **Snakk alltid med legen din før du tar noen avgjørelser om behandlingen.**

Sammendragets innhold

1. Generell informasjon om denne studien
2. Hvem deltok i denne studien?
3. Hva skjedde under studien?
4. Hva var resultatene av studien?
5. Hva var bivirkningene?
6. Hvordan har denne studien hjulpet forskning?
7. Er det planlagt noen andre studier?
8. Hvor kan jeg finne mer informasjon?

Takk til personene som deltok i denne studien

Personene som deltok har hjulpet forskere med å svare på viktige spørsmål om en bestemt type kreft, som kalles myelomatose, og studielegemiddelet R07297089.

Viktig informasjon om denne studien

- Denne studien ble utført for å finne ut hvor trygt det var å gi folk et nytt legemiddel, om legemiddelet var effektivt og hvordan legemiddelet opptrådte i kroppen.
- Personer som hadde kreft (myelomatose) fikk studiemedisinen, kalt «RO7297089».
- Denne studien inkluderte 27 personer i 4 land.
- Hovedfunnet var at legemiddelet ikke var like effektivt som forskerne hadde forventet. Bivirkninger var generelt tolererbare for personene i denne studien.
- Seks av de 27 personene (22 %) i denne studien hadde alvorlige bivirkninger som man trodde var forårsaket av studielegemiddelet.
- Denne studien stoppet tidlig fordi legemiddelet som ble studert, ikke fungerte like bra som forventet.

1. Generell informasjon om denne studien

Hvorfor ble denne studien gjennomført?

Myelomatose (**MM**) er en kreftform som påvirker benmargen i ulike deler av kroppen. Kreften forårsakes av veksten og oppbyggingen av sykelige (**defekte**) plasmaceller. Friske plasmaceller finnes hovedsakelig i benmargen, der de produserer antistoffer for å drepe bakterier.

Hvert år diagnostiseres omtrent 160 000 mennesker verden rundt med MM. Hos personer med MM dannes det en overflod av plasmaceller og funksjonen til andre blodceller forstyrres. De syke plasmacellene produserer også proteiner som forårsaker problemer i forskjellige deler av kroppen.

MM kan ikke kureres. Flere legemidler kan bidra til å forlenge livet til noen med MM. Personer med «standardrisiko» MM lever i omtrent 8–10 år og de med «høyrisiko» MM lever i omtrent 2–3 år etter diagnostisering.

Hos de fleste pasienter med MM, vender sykdommen tilbake – pasienten får **tilbakefall**. Sykdommen kan også bli uimottakelig for tilgjengelige legemidler – sykdommen blir **«refraktær»**.

Nye legemidler er nødvendig for personer med MM. Denne studien ble utført for å finne ut om et nytt legemiddel for MM, kalt «RO7297089», var trygt og effektivt for pasienter med MM.

Hvilket legemiddel ble studert?

Studielegemidlet ble kalt «**RO7297089**».

- RO7297089 er en type medisin som kalles «**immunterapi**». Den oppmuntrer kroppens immunceller til å angripe kreftceller.
- RO7297089 er et **bispesifikt antistoff**, som er et protein som binder seg til to forskjellige proteinmål i kroppen.
- Et mål er et protein kalt «**BCMA**». BCMA finnes på plasmaceller. Det er overuttrykt på defekte plasmaceller hos pasienter med MM. BCMA gjør at plasmacellene kan leve i lengre perioder.
- Et annet mål er et protein som kalles «**CD16a**». CD16a finnes på forskjellige immunceller i blodet (makrofager, naturlige drepeceller og monocytter).
- Når RO7297089 binder seg til BCMA og CD16a, fanger legemidlet opp immunceller og plasmaceller. Dette gjør det mulig for immuncellene å drepe kreftfremkallende plasmaceller.

Hva ønsker forskere å finne ut?

Dette var første gang studielegemidlet ble gitt til mennesker.

Hovedspørsmålene som forskerne ønsket å svare på var:

1. Hvor trygt var det å gi folk ulike doser av studielegemiddelet?
2. Hvor mye studielegemiddel var tilgjengelig i kroppen på ulike tidspunkter med ulike doser?
3. Reagerte kreften på noen måte på studielegemiddelet?

Hva slags studie var dette?

Dette var en **fase 1 studie**, noe som betyr at dette var en av de tidlige studiene av RO7297089. Et lite antall personer med MM fikk studielegemiddelet. Forskerne utførte medisinske tester og observerte personene for å finne ut mer om effektene av legemidlet.

Dette var en **åpen studie**. Det betyr at forskerne og personene som deltok i studien visste hvilket legemiddel og hvilken dose som ble gitt til personene.

Dette var en **doseeskaleringsstudie**. Hver nye gruppe personer fikk en høyere dose av studielegemiddelet. Når det ble gitt en høyere dose av studielegemiddelet, ble det kalt for doseeskalering. Avgjørelsen om doseeskalering ble tatt etter at resultatene fra alle tidligere doserte personer ved lavere dosenivåer ble gjennomgått.

Når og hvor fant studien sted?

Studien startet i juli 2020 og stoppet tidlig fordi RO7297089 ikke fungerte like godt som forventet. Dette sammendraget viser resultatene av studien frem til den ble stoppet i juli 2021.

Studien fant sted ved 10 studiesteder i 4 land:

Australia (5 studiesteder)

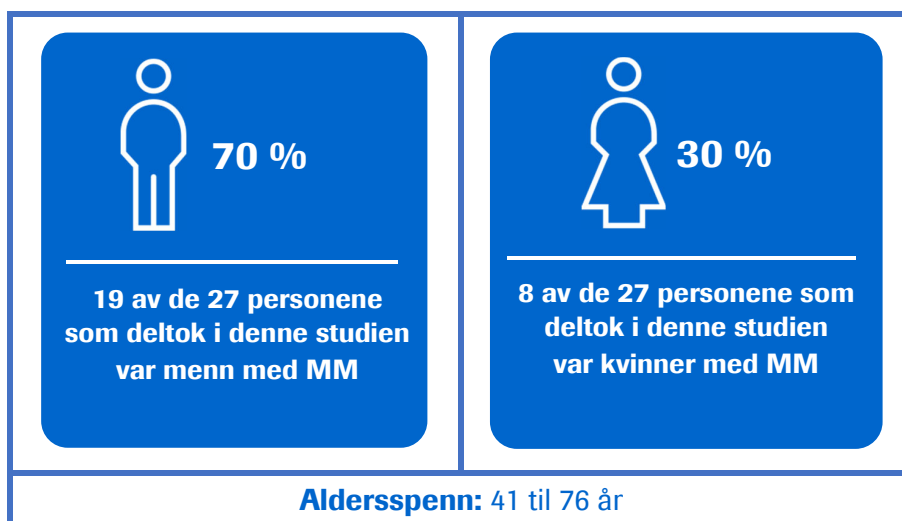
Belgia (2 studiesteder)

Danmark (2 studiesteder)

Norge (1 studiested)

2. Hvem deltok i denne studien?

Tjuesju personer med MM deltok i denne studien.



Personer kunne delta i studien hvis:

- De var minst 18 år og hadde residiverende/refraktær MM som det ikke var noen behandling tilgjengelig for.
- De signerte et skjema for informert samtykke og var i stand til å gjøre det som var nødvendig i løpet av studien.
- De var i stand til å utføre fysiske aktiviteter på et nivå som var forventet for denne studien.
- De hadde en forventet levetid på minst 12 uker.
- MM-sykdommen deres kunne måles ved å utføre laboratorietester på serum- og urinprøver.
- Tester viste at de hadde normale kalsiumnivåer i blodet og tilstrekkelig organfunksjon (lever, blod og nyre).

Personer kunne ikke delta i studien hvis:

- De var gravide, ammet eller planla graviditet mens de deltok i studien.
- De hadde tidligere fått visse kreftmedisiner eller legemidler som reduserte immunforsvaret.
- De hadde nylig fått stamcelletransplantasjon.
- MM-sykdomsnivået (antall plasmaceller) var for høyt eller sykdommen hadde utviklet seg til hjernen.
- De hadde visse hjerte- eller lungesykdommer, eller visse andre kreftformer.
- De hadde visse infeksjoner.
- De hadde fått en vaksine som inneholdt levende virus i løpet av de 4 ukene før studien.
- De hadde en historie med narkotika- eller alkoholmisbruk i løpet av de siste 12 månedene.
- De hadde en større operasjon innen 4 uker etter studien, eller hadde en planlagt operasjon i løpet av studien.
- De hadde ukontrollerte smerter forårsaket av kreften.

3. Hva skjedde under studien?

Leger undersøkte (**screenet**) personene som ønsket å delta i studien. Hvis personene oppfylte betingelsene for å bli med i studien, startet de studien innen 28 dager etter screening.

Personer fikk RO7297089 via drypp, også kalt «intravenøs (**i.v.**) infusjon». Personer i gruppen med lavest dose fikk studielegemidlet først.

Leger observerte personer i hver nye dosegruppe i 14 dager før de lot personer i den neste gruppen med høyere dose motta studielegemiddelet, dersom legene mente det var trygt å gi en høyere dose.

Dosegrupper	Hvordan ble studielegemiddelet gitt?
Gruppe 1A Dose = 60 mg Antall personer = 3	Personene fikk sin dose i.v. én gang i uken. De fikk en flat dose . Det betyr at legemiddelet ble gitt i en omgang og alle i samme gruppe fikk samme dose – uavhengig av hvor mye de veide.
Gruppe 2A Dose = 180 mg Antall personer = 5	
Gruppe 3A Dose = 360 mg Antall personer = 4	
Gruppe 4A Dose = 1080 mg Antall personer = 6	
Gruppe 4B Dose = 1080 mg Antall personer = 6	Personene fikk sin dose i.v. én gang i uken. De fikk sin første dose som en delt dose der hele dosen ble delt og gitt i to omganger fordelt på to dager. Fra og med den andre dosen ble hver dose gitt på en gang.
Gruppe 5B Dose = 1850 mg Antall personer = 3	

Personer måtte stoppe behandlingen med studielegemiddelet hvis MM-sykdommen ble verre. I tillegg kunne de når som helst slutte i studien.

Når personer sluttet å ta studielegemiddelet, ble de bedt om å besøke studiestedet for flere besøk. Forskerne kontrollerte deres generelle helse i minst 90 dager etter at studielegemidlet ble avsluttet.

4. Hva var resultatene av studien?

Spørsmål 1: Hvor trygt var det å gi folk ulike doser av studielegemiddelet?

Blant 27 personer som ble behandlet, fikk 14 personer (52 %) en bivirkning som forskerne trodde var forårsaket av studielegemiddelet.

Forskerne så på alle dataene fra studien og bestemte at denne studien viste at RO7297089 var godt tolerert av personene i denne studien opptil den høyeste dosen som ble testet i denne studien, 1850 mg.

Resultatene kan være annerledes i andre studier – det vil kreve mange mennesker i mange studier for å lære mer om studielegemiddelet.

Spørsmål 2: Hvor mye studielegemiddel var tilgjengelig i kroppen på ulike tidspunkter med ulike doser?

Den høyeste mengden RO7297089 ble funnet i kroppen, i serum, etter at den intravenøse transfusjonen ble fullført og opptil 4 timer etterpå.

Det tok ulik tid for de ulike dosene av RO7297089 å falle til halvparten av toppnivået. Denne halveringstiden varierte fra over en dag til under 7 dager for de ulike dosene.

Spørsmål 3: Reagerte kreften på noen måte på studielegemiddelet?

Forskere så på 25 av de 27 personene for å finne ut om studielegemiddelet var nyttig i MM når det brukes alene (som en enkel behandling).

To av de 25 personene (7 %) med MM responderte på behandlingen. Enda to (7 %) viste litt respons (minimal).

Forskerne stoppet studien tidlig fordi respons-resultatene ikke var det de forventet å se med dette studielegemiddelet.

Avsnitt 4 viser kun de vesentlige resultatene fra denne studien. Du finner informasjon om alle andre resultater på nettstedene på slutten av dette sammendraget (se avsnitt 8).

5. Hva var bivirkningene?

Bivirkninger er medisinske problemer (som svimmelhet) som forekom i løpet av studien.

- De er beskrevet i dette sammendraget fordi studielegen mener at bivirkningene var relatert til behandlingen i studien.
- Ikke alle personene i denne studien hadde alle bivirkningene.
- Bivirkninger kan være milde til svært alvorlige og kan være forskjellige fra person til person.
- Det er viktig å være klar over at bivirkningene som er rapportert her, kommer fra denne enkeltstudien. Derfor kan bivirkningene som vises her være forskjellige fra de som ses i andre studier, eller de som vises i pakningsvedlegget.
- Alvorlige og vanlige bivirkninger er oppført i følgende avsnitt.

Alvorlige bivirkninger

En bivirkning anses som alvorlig hvis den er livstruende, krever sykehusinnleggelse eller forårsaker varige problemer.

I løpet av denne studien hadde 6 av de 27 personene (22 %) minst én alvorlig bivirkning.

De alvorlige bivirkningene er oppført i tabellen som følger. Noen mennesker hadde mer enn én bivirkning. Dette betyr at de er inkludert i mer enn én rad i tabellen.

Antall (og prosent) personer	Alvorlig bivirkning
6 personer (22 %)	En reaksjon på infusjon av studielegemiddelet (infusjonsrelaterte reaksjoner)
2 personer (7 %)	Sterk immunrespons i kroppen (cytokinfrigjøringsyndrom)
1 person (4 %)	Feber (pyreksi)

Det var 12 personer i studien som døde. Ingen av dødsfallene ble antatt å være forårsaket av studielegemiddelet.

- Ti mennesker døde fordi MM-sykdommen ble verre (sykdomsprogresjon).
- Én person døde på grunn av nyresvikt.
- Én person døde av andre grunner.

I løpet av studien stoppet 2 personer (7 %) å ta studielegemiddelet på grunn av bivirkninger forårsaket av legemiddelet.

De vanligste bivirkningene

I løpet av denne studien hadde 14 av de 27 personene (52 %) en bivirkning som ikke ble ansett som alvorlig, men som antas å være forårsaket av studielegemiddelet.

De vanligste bivirkningene som forekom hos 2 eller flere personer, er oppført i følgende tabell. Noen mennesker hadde mer enn én bivirkning. Dette betyr at de er inkludert i mer enn én rad i tabellen.

Antall (og prosent) personer	Mest vanlige bivirkning
10 personer (37 %)	En reaksjon på infusjon av studielegemiddelet (infusjonsrelaterte reaksjoner)
4 personer (14 %)	Unormale levertester (økt alanin aminotransferase og aspartat-aminotransferase)
3 personer (11 %)	Inflammasjon i kroppen (økt C-reaktivt protein)
2 personer (7 %)	Unormale levertester (økt gamma glutamyltransferase)
2 personer (7 %)	Sterk immunrespons i kroppen (cytokinfrigjøringsyndrom)

Andre bivirkninger

Du kan finne informasjon om andre bivirkninger (ikke oppført i avsnittene ovenfor) på nettstedene som er oppført på slutten av dette sammendraget – se avsnitt 8.

6. Hvordan har denne studien hjulpet forskning?

Informasjonen som presenteres her kommer fra en enkeltstudie med 27 personer med MM. Disse resultatene hjalp forskere å lære mer om MM og RO7297089.

Responsen på behandlingen med RO7297089 brukt alene (enkel behandling) hos personer med MM, var ikke som forventet. Forskere stoppet studien tidlig og registrerte (inkluderte) ikke flere personer i studien.

Ingen enkeltstudie kan fortelle oss alt om risikoene og fordelene med et legemiddel. Det krever mange mennesker i mange studier for å finne ut alt vi trenger å vite. Resultatene fra denne studien kan avvike fra andre studier med samme legemiddel.

- **Dette betyr at du ikke bør ta avgjørelser basert på dette sammendraget.**
- **Snakk alltid med legen din før du tar noen avgjørelser om behandlingen.**

7. Er det planlagt noen andre studier?

Ved opprettelsestidspunktet for dette sammendraget, var det ikke planlagt flere studier som ser på RO7297089.

8. Hvor kan jeg finne mer informasjon?

Du finner mer informasjon om denne studien på nettstedene som er oppført nedenfor:

<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 spørsmål om denne studien?

Hvis du har flere spørsmål etter å ha lest dette sammendraget:

- Gå til ForPatients-plattformen og fyll ut kontaktskjemaet – <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Ta kontakt med en representant hos Roche.

Hvis du deltok i denne studien og har spørsmål om resultatene:

- Snakk med studielegen eller personellet på studiesykehuset eller -klinikken.

Hvis du har spørsmål om din egen behandling:

- Snakk med legen som har ansvaret for behandlingen.

Hvem organiserte og betalte for denne studien?

Denne studien ble organisert og betalt av Genentech, Inc., South San Francisco, CA, USA. Genentech er en del av F. Hoffmann-La Roche Ltd., med hovedkontor i Basel i Sveits.

Fullstendig studietittel og annen identifiserende informasjon

Den fullstendige tittelen på denne studien er:

En åpen, multisenter, fase 1-studie som evaluerer sikkerheten og farmakokinetikken til eskalerende doser av RO7297089 hos pasienter med residiverende eller refraktær myelomatose.

- Protokollnummeret for denne studien er GO41582.
- ClinicalTrials.gov-identifikatoren for denne studien er NCT04434469.
- EudraCT-nummeret for denne studien er 2019-003540-76.