

Resultaten klinische studie

In deze samenvatting worden slechts de resultaten van één studie gerapporteerd. Onderzoekers moeten de resultaten van vele soorten studies bekijken om te begrijpen of een studiegeneesmiddel werkt, hoe het werkt en of het veilig is om het aan patiënten voor te schrijven. De resultaten van deze studie kunnen verschillen van die van andere studies die de onderzoekers bekijken.

Sponsor: Pfizer Inc.

**Onderzocht(e)
geneesmiddel(en):** PF-06755347

Protocolnummer: B7801001

Studieperiode: 17 juli 2017 tot 6 januari 2023

Titel van deze studie: Een studie naar PF-06755347 bij gezonde mannen

[Een fase 1, gerandomiseerde, dubbelblinde, open sponsor, placebogecontroleerde, eerste studie bij de mens om de veiligheid, verdraagzaamheid, en farmacokinetiek van PF-06755347 te beoordelen na een enkele oplopende intraveneuze en subcutane dosis in gezonde mannelijke deelnemers en open label na een enkele subcutane dosis in mannelijke en vrouwelijke deelnemers met persistente of chronische primaire immuuntrombocytopenie]

**Datum(s) van dit
verslag:** 30 november 2023

– Hartelijk dank–

Als u hebt deelgenomen aan deze studie, wil Pfizer, de sponsor, u bedanken voor uw deelname.

In deze samenvatting worden de studieresultaten beschreven. Neem contact op met de arts of het personeel van uw studiecentrum als u vragen hebt over de studie of de resultaten.

Waarom werd deze studie uitgevoerd?

Wat is primaire immuuntrombocytopenie?

Primaire immuuntrombocytopenie (ITP) is een ziekte waarbij er een zeer laag aantal bloedplaatjes in het bloed zitten. Deze bloedplaatjes helpen bij bloedstolling: de manier van het lichaam om te voorkomen dat een wond te veel bloedt

Bij primaire ITP valt het immuunsysteem van het lichaam zijn eigen bloedplaatjes in het bloed per ongeluk aan. Hierdoor hebben mensen met deze aandoening een zeer laag aantal bloedplaatjes en bloeden ze gemakkelijk of krijgen ze snel blauwe plekken.

Wat is PF-06755347?

PF-06755347 is een injecteerbaar medicijn dat werd getest in deze studie. Het is gemaakt uit delen van eiwitten die de naam immuunglobuline dragen, en die ontworpen zijn om het immuunsysteem te ondersteunen bij het vechten tegen ziekten. Onderzoekers denken dat PF-06755347 mensen met primaire ITP kan helpen.

In deze studie is PF-06755347 toegediend met behulp van twee typen injecties:

- in de ader, ofwel intraveneus (IV)
- onder de huid, ofwel subcutaan (SC)

Wat was het doel van deze studie?

Het hoofddoel van deze studie was om te kijken of een dosis PF-06755347 IV of SC veilig gegeven kon worden aan gezonde mannelijke deelnemers. De onderzoekers wilden PF-06755347 ook onderzoeken bij volwassenen met primaire ITP. De onderzoekers konden dit deel van de studie niet starten, doordat de plannen van de sponsor voor de studiemedicatie werden gewijzigd.

De onderzoekers wilden de volgende zaken nagaan:

- Zijn er veiligheidsproblemen waargenomen bij deelnemers nadat zij een dosis PF-06755347 IV of SC hadden ontvangen?
 - Welke medische problemen vertoonden de deelnemers tijdens de studie?
-

Wat gebeurde er tijdens de studie?

Hoe werd de studie uitgevoerd?

De onderzoekers wilden weten of een dosis PF-06755347 IV of SC veilig gegeven kon worden aan gezonde mannelijke deelnemers. Dit werd gedaan door geleidelijk de dosis van PF-06755347 IV of SC te verhogen en ze stuk voor stuk te testen in verschillende deelnemersgroepen.

PF-06755347 is eerst op hele lage dosissen getest:

- 0,01 mg/kg PF-06755347 IV in de ene groep deelnemers
- 25 mg PF-06755347 SC in de andere groep deelnemers

Elke deelnemer in de IV- of SC-groep ontving een enkele dosis van het toegewezen studiemedicijn op Dag 1. De onderzoekers hebben nadat het studiemedicijn was toegediend de gezondheid van de deelnemers gecontroleerd. Voordat een andere deelnemer in dezelfde groep het studiemedicijn ontving, werden degenen die PF-06755347 IV toegediend kregen minimaal 96 uur geobserveerd, en degenen die PF-06755347 SC toegediend kregen minimaal 120 uur geobserveerd.

De studie is begonnen met deelnemers die PF-06755347 via IV kregen. De volgende hogere dosis van PF-06755347 werd aan de volgende groep

deelnemers gegevens als er geen veiligheidsproblemen werden waargenomen. De dosissen konden worden verlaagd wegens veiligheidsproblemen tussen verschillende dosissen in. Toen de hoogste IV dosis van PF-06755347 die geen ernstige medische problemen veroorzaakte (0,3 mg/kg) niet leidde tot genoeg PF-06755347 in het bloed, heeft de sponsor de opzet van de studie gewijzigd om doseringen via SC op te nemen. In de studie:

- zijn 6 dosisniveaus getest in de IV-groep.
- zijn 5 dosisniveaus getest in de SC-groep.

Er werden verschillende tests afgenomen bij de deelnemers en zij verbleven gemiddeld 8 dagen op de studielocatie. Het studiepersoneel controleerde de gezondheid van de deelnemers gedurende deze periode. Deelnemers moesten maximaal 7 keer terugkomen voor controle op de studielocatie tot aan Dag 71.

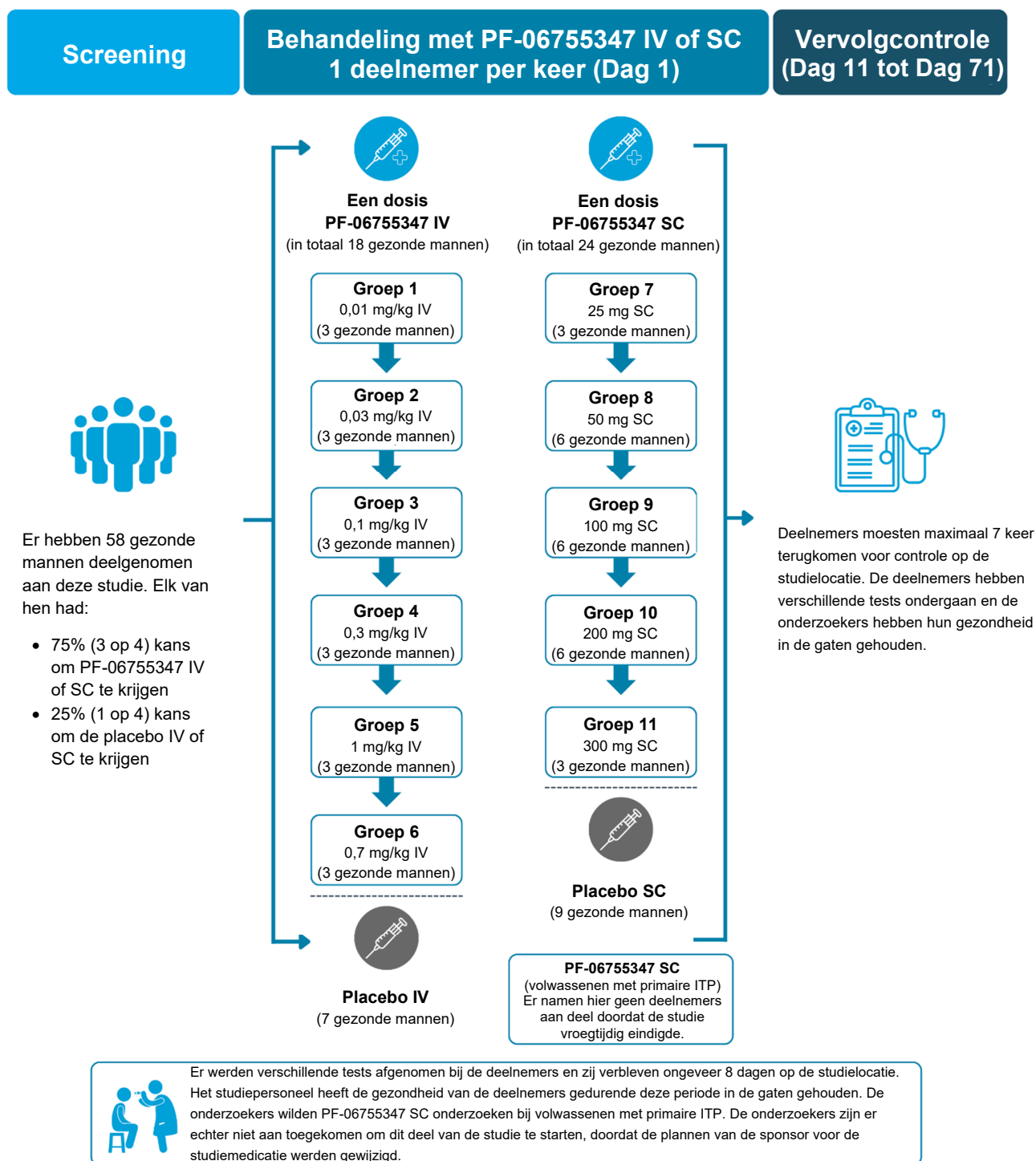
De onderzoekers hebben daarna de resultaten van de groepen die PF-06755347 via IV of SC kregen vergeleken met de groepen die de placebo kregen via IV of SC. Een placebo bevat geen geneesmiddel, maar ziet eruit als PF-06755347.

Zowel de deelnemers als de onderzoekers wisten niet wie PF-06755347 of de placebo kreeg. Dit wordt een 'geblindeerde' studie genoemd. Elke deelnemer had 75% (3 op 4) kans om PF-06755347 IV of SC te krijgen en 25% (1 op 4) kans om de placebo IV of SC te krijgen.

De onderzoekers namen gedurende de studie bloedstalen van de deelnemers en maten de hoeveelheid PF-06755347 in het bloed. De onderzoekers controleerden ook de gezondheid van de deelnemers gedurende de studie en vroegen hun hoe ze zich voelden.

Afbeelding 1 laat zien wat er tijdens de studie is gebeurd.

Afbeelding 1. Algehele studie-opzet



Waar vond deze studie plaats?

De sponsor voerde deze studie uit op 4 locaties in 4 landen (België, Nieuw-Zeeland, Verenigd Koninkrijk en de VS). De sponsor besloot de studie in de VS stop te zetten. Er zijn geen dosissen toegediend aan deelnemers op die locatie.

Wanneer vond deze studie plaats?

De studie ging van start op 17 juli 2017 en werd beëindigd op 6 januari 2023.

Wie heeft aan deze studie deelgenomen?

Aan de studie deden 58 gezonde mannen mee. Alle deelnemers waren tussen de 18 en 54 jaar.

- 54 deelnemers hebben de studie voltooid
- 4 deelnemers hebben naar eigen keuze, wegens een medisch probleem of om een andere reden de studie verlaten voordat de studie was afgerond.

Hoelang heeft de studie geduurd?

De studiedeelnemers namen tot 71 dagen deel aan de studie. In totaal duurde de volledige studie ongeveer vijf en een half jaar.

De sponsor beëindigde de studie voordat er deelnemers met ITP aan konden deelnemen. De studie is eerder dan gepland stopgezet omdat de plannen van de sponsor met betrekking tot de studiemedicatie was gewijzigd. Het had niets te maken met zorgen over de veiligheid van PF-06755347.

Bij beëindiging van de studie in januari 2023, voerde de sponsor een evaluatie uit van de verzamelde informatie. De sponsor heeft vervolgens een verslag van de resultaten opgesteld. Dit is een samenvatting van dat verslag.

Wat waren de resultaten van de studie?

Zijn er veiligheidsproblemen waargenomen bij deelnemers nadat zij een dosis PF-06755347 IV of SC hadden ontvangen?

Ter beantwoording van deze vraag, hebben de onderzoekers de resultaten van de bloedstalen van de deelnemers, hun vitale functies (bloeddruk, hartslag en lichaamstemperatuur) en elektrocardiogram (ECG) beoordeeld. De ECG wordt gebruikt om te bepalen of het hart op een gezonde manier klopt.

Er zijn een aantal abnormale resultaten gevonden uit de bloedtests, vitale functies en ECG's. Maar over het algemeen ontstond er geen bezorgdheid over de veiligheid van de deelnemers wanneer zij een enkele dosis PF-06755347 kregen:

- onder de 0,7 mg/kg in de IV-groep.
- tot 300 mg in de SC-groep.

Dit betekent niet dat iedereen in deze studie dezelfde resultaten vertoonde. Dit is een samenvatting van slechts de voornaamste bevindingen van deze studie. Andere studies kunnen andere resultaten hebben.

Welke medische problemen vertoonden de deelnemers tijdens de studie?

De onderzoekers hebben alle medische problemen genoteerd die de deelnemers tijdens de studie hebben ervaren. Deelnemers konden medische problemen hebben vertoond om redenen die geen verband hielden met de studie (bijvoorbeeld veroorzaakt door een onbekende onderliggende ziekte of door toeval). De medische problemen konden ook veroorzaakt zijn door een studiebehandeling of door een ander geneesmiddel dat de deelnemer gebruikte. Soms is de oorzaak van een medisch probleem onbekend. Door

medische problemen tussen vele behandelingsgroepen in vele studies te vergelijken, proberen artsen te begrijpen welke effecten een studiegeneesmiddel op een deelnemer kan hebben.

In totaal hadden 50 van de 58 (86%) deelnemers in deze studie minstens 1 medisch probleem.

In de IV-groep werd er minstens 1 medisch probleem waargenomen bij:

- 17 van de 18 deelnemers (94%) die PF-06755347 kreeg.
- 4 van de 7 deelnemers (57%) die de placebo kreeg.

Een (1) van de 18 (6%) deelnemers die PF-06755347 IV kreeg, heeft de studie verlaten wegens een medisch probleem.

Tabel 1 toont de meest voorkomende medische problemen die bij 3 of meer deelnemers voorkwamen in een van IV-groepen.

Hieronder vindt u instructies om tabel 1 te lezen.

Instructies om Tabel 1 te begrijpen.

- In de **1e** kolom van tabel 1 staan alle medische problemen die vaak voorkwamen bij 3 of meer deelnemers die het studiemedicijn via IV kregen.
- In de **2e** kolom staat hoeveel van de 18 deelnemers die een dosis kregen van PF-06755347 via IV (ongeacht het dosisniveau) elk medische probleem gemeld hebben. Daarnaast staat het percentage van de 18 deelnemers die een dosis kregen van PF-06755347 via IV (ongeacht het dosisniveau) dat het medisch probleem heeft gemeld.
- In de **3e** kolom staat hoeveel van de 7 deelnemers die de placebo IV namen, elk medisch probleem hebben gemeld.

Naast dit getal staat het percentage van de 7 deelnemers die de placebo IV namen en dat het medisch probleem heeft gemeld.

- Aan de hand van deze instructies kunt u zien dat 6 van de 18 deelnemers (33%) die PF-06755347 IV kregen, hoofdpijn hebben gemeld. Nul (0) van de 7 deelnemers (0%) die de placebo IV kreeg, hebben hoofdpijn gemeld.

Tabel 1. Veel gemelde medische problemen door deelnemers (IV-groep)

Medisch probleem	PF-06755347 IV algeheel (18 Participants)	Placebo IV (7 deelnemers)
Hoofdpijn	6 van de 18 deelnemers (33%)	0 van de 7 deelnemers (0%)
Ongemakkelijk gevoel of misselijk	4 van de 18 deelnemers (22%)	0 van de 7 deelnemers (0%)
Koorts, vaak na toediening van een medicijn dat het immuunsysteem beïnvloedt, soms met lagere bloeddruk	4 van de 18 deelnemers (22%)	0 van de 7 deelnemers (0%)

Tabel 1. Veel gemelde medische problemen door deelnemers (IV-groep)

Medisch probleem	PF-06755347 IV algeheel (18 Participants)	Placebo IV (7 deelnemers)
Rugpijn	4 van de 18 deelnemers (22%)	0 van de 7 deelnemers (0%)
Koud hebben	3 van de 18 deelnemers (17%)	0 van de 7 deelnemers (0%)

In de SC-groep werd er minstens 1 medisch probleem waargenomen bij:

- 23 van de 24 deelnemers (96%) die PF-06755347 kreeg.
- 6 van de 9 deelnemers (67%) die de placebo kreeg.

Geen van de deelnemers die PF-06755347 of de placebo SC kreeg, heeft de studie verlaten wegens een medisch probleem.

Tabel 2 toont de meest voorkomende medische problemen die bij 3 of meer deelnemers voorkwamen in een van SC-groepen.

Hieronder vindt u instructies om tabel 2 te lezen.

Instructies om Tabel 2 te begrijpen.

- In de **1e** kolom van tabel 2 staan alle medische problemen die veel voorkwamen bij 3 of meer deelnemers die het studiemedicijn via SC kregen.

- In de **2e** kolom staat hoeveel van de 24 deelnemers die een dosis kregen van PF-06755347 via SC (ongeacht het dosisniveau) elk medische probleem gemeld hebben. Daarnaast staat het percentage van de 24 deelnemers die een dosis kregen van PF-06755347 via SC (ongeacht het dosisniveau) dat het medisch probleem heeft gemeld.
- In de **3e** kolom staat hoeveel van de 9 deelnemers die de placebo SC namen, elk medisch probleem hebben gemeld. Naast dit getal staat het percentage van de 9 deelnemers die de placebo SC namen en dat het medisch probleem heeft gemeld.
- Aan de hand van deze instructies kunt u zien dat 11 van de 24 deelnemers (46%) die PF-06755347 SC kregen, roodheid op de injectieplaats hebben gemeld. Nul (0) van de 9 deelnemers (0%) die de placebo SC kreeg, hebben roodheid op de injectieplaats gemeld.

Tabel 2. Veel gemelde medische problemen door deelnemers (SC-groep)

Medisch probleem	PF-06755347 SC algeheel (24 Participants)	Placebo SC (9 deelnemers)
Roodheid op de injectieplaats	11 van de 24 deelnemers (46%)	0 van de 9 deelnemers (0%)

Tabel 2. Veel gemelde medische problemen door deelnemers (SC-groep)

Medisch probleem	PF-06755347 SC algeheel (24 Participants)	Placebo SC (9 deelnemers)
Pijn op de injectieplaats	5 van de 24 deelnemers (21%)	0 van de 9 deelnemers (0%)
Vermoeidheid	4 van de 24 deelnemers (17%)	2 van de 9 deelnemers (22%)
Rugpijn	4 van de 24 deelnemers (17%)	1 van de 9 deelnemers (11%)
Hoofdpijn	4 van de 24 deelnemers (17%)	0 van de 9 deelnemers (0%)
Neus- en keelontsteking (gewone verkoudheid)	3 van de 24 deelnemers (13%)	0 van de 9 deelnemers (0%)

Hadden de deelnemers aan de studie ernstige medische problemen?

Een medisch probleem wordt als 'ernstig' beschouwd als het levensbedreigend is, er ziekenhuiszorg nodig is of het aanhoudende problemen veroorzaakt.

In totaal had 1 van de 58 (2%) deelnemers in deze studie een ernstig medisch probleem. De deelnemer had koorts en een erg lage bloedsdruk, die vaak wordt waargenomen nadat er een medicijn is toegediend die het immuunsysteem beïnvloedt, 1 uur en 15 minuten na toediening van PF-06755347 via IV. Deze deelnemer is meteen behandeld en is de volgende dag hersteld. De onderzoekers denken dat dit ernstige medische probleem betrekking had op PF-06755347. Tijdens deze studie zijn geen deelnemers overleden.

Waar vind ik meer informatie over deze studie?

Neem contact op met de arts of het personeel van uw studiecentrum als u vragen hebt over de resultaten van uw studie.

Voor meer details over uw studieprotocol kunt u terecht op:

[www.pfizer.com/research/
research_clinical_trials/trial_results](http://www.pfizer.com/research/research_clinical_trials/trial_results)

Gebruik het protocolnummer
B7801001

Het volledige wetenschappelijke verslag van deze studie is online beschikbaar op:

www.clinicaltrials.gov

Gebruik de studiereferentie
NCT03275740

www.clinicaltrialsregister.eu

Gebruik de studiereferentie
2018-003315-21

De onderzoekers bekijken de resultaten van veel studies vooraleer zij besluiten welke geneesmiddelen het beste werken en het veiligst zijn voor patiënten.

Nogmaals **bedankt** voor uw vrijwillige
deelname aan deze studie.

Wij doen onderzoek en proberen daarbij
de beste methodes te vinden om
patiënten te helpen, en u hebt ons
daarbij geholpen!