

# Résultats de l'étude clinique

Ce résumé présente les résultats d'une seule étude. Les chercheurs doivent analyser les résultats de nombreux types d'étude pour comprendre si un médicament à l'étude est efficace, la façon dont il agit et s'il peut être prescrit en toute sécurité aux patients. Les résultats de cette étude pourraient être différents de ceux d'autres études examinées par les chercheurs.

**Promoteur :** Pfizer Inc.

**Médicament(s) à l'étude :** PF-06755347

**Numéro du protocole :** B7801001

**Dates de l'étude :** du 17 juillet 2017 au 6 janvier 2023

**Titre de l'étude :** Étude portant sur le PF-06755347 chez des hommes en bonne santé.

[Essai de phase I, randomisé, en double aveugle, en ouvert pour le promoteur, contrôlée contre placebo, de première administration chez l'humain, visant à évaluer l'innocuité, la tolérance et la pharmacocinétique du PF-06755347 après l'administration d'une dose croissante unique par voie intraveineuse et sous-cutanée chez des participants de sexe masculin adultes en bonne santé et en ouvert après l'administration d'une dose unique par voie sous-cutanée chez des participants de sexe masculin et féminin atteints

de thrombopénie immunitaire primaire  
persistante ou chronique].

**Date(s) de ce rapport :** 30 novembre 2023

## — Merci —

Si vous avez participé à cette étude, Pfizer, le promoteur, tient à vous adresser ses remerciements.

Ce résumé décrit les résultats de l'étude. Si vous avez des questions concernant l'étude ou ses résultats, veuillez contacter le médecin de l'étude ou le personnel de votre centre.

## Pourquoi cette étude a-t-elle été réalisée ?

---

### Qu'est-ce que la thrombopénie immunitaire primaire ?

La thrombopénie immunitaire (TPI) primaire est une maladie caractérisée par un très faible nombre de plaquettes dans le sang. Les plaquettes participent à la coagulation du sang, qui est le moyen pour l'organisme d'empêcher une blessure de trop saigner.

Dans le cas de la TPI primaire, le système immunitaire de l'organisme attaque par erreur les plaquettes dans le sang. Les personnes atteintes de cette maladie présentent donc un nombre très faible de plaquettes et saignent ou ont des ecchymoses (« bleus ») facilement.

### Qu'est-ce que le PF-06755347 ?

Le PF-06755347 est un médicament injectable qui a été testé au cours de cette étude. Il est composé de parties de protéines appelées immunoglobulines qui sont conçues pour travailler avec le système immunitaire de l'organisme dans la lutte contre les maladies. Les chercheurs pensent que le PF-06755347 peut soulager les personnes atteintes de TPI primaire.

Au cours de cette étude, le PF-06755347 a été administré sous 2 formes d'injection :

- dans une veine, par voie « intraveineuse » (IV) ;
- sous la peau, par voie « sous-cutanée » (SC).

### Quel était l'objectif de cette étude ?

L'objectif principal de cette étude était de déterminer si une dose de PF-06755347 pouvait être administrée en toute sécurité, par voie IV ou SC, à des participants adultes de sexe masculin en bonne santé. Les

chercheurs avaient également prévu d'étudier le PF-06755347 chez des adultes atteints de TPI primaire. Mais les chercheurs n'ont pas pu entamer cette partie de l'étude car les plans du promoteur pour le médicament à l'étude ont changé.

---

### **Les chercheurs se sont posé les questions suivantes :**

- **Des problèmes de sécurité ont-ils été observés chez les participants après l'administration d'une dose de PF-06755347 par voie IV ou SC ?**
  - **Quels problèmes médicaux les participants ont-ils rencontrés pendant l'étude ?**
- 

## **Que s'est-il passé pendant l'étude ?**

---

### **Comment l'étude a-t-elle été menée ?**

Les chercheurs souhaitaient déterminer si une dose de PF-06755347 pouvait être administrée en toute sécurité, par voie IV ou SC, à des participants adultes de sexe masculin en bonne santé. Pour ce faire, ils ont augmenté lentement la dose de PF-06755347 administrée par voie IV ou SC et les ont testées une à une dans différents groupes de participants.

Le PF-06755347 a d'abord été testé à de très faibles doses :

- 0,01 mg/kg de PF-06755347 par voie IV dans un groupe de participants ;
- 25 mg de PF-06755347 par voie SC dans un autre groupe de participants.

Chaque participant du groupe IV ou SC a reçu une dose unique du médicament à l'étude qui lui a été attribué, une à la fois, le Jour 1. Les chercheurs ont vérifié l'état de santé des participants après l'administration du médicament à l'étude. Avant qu'un autre participant du même groupe ne reçoive un médicament à l'étude, ceux ayant reçu le PF-06755347 par voie IV ont fait l'objet d'une surveillance pendant au moins 96 heures, et ceux ayant reçu le PF-06755347 par voie SC ont fait l'objet d'une surveillance pendant au moins 120 heures.

L'étude a commencé avec des participants recevant le PF-06755347 par voie IV. Le palier de dose supérieur de PF-06755347 a été administré au groupe de participants suivant si aucun problème de sécurité n'avait été observé. En cas de problèmes de sécurité, la dose pouvait être diminuée entre les doses précédentes. Le promoteur a remanié l'étude pour y inclure une administration par voie SC lorsque la dose IV la plus élevée de PF-06755347 n'entraînant pas de problèmes médicaux sévères (0,3 mg/kg) ne produisait pas suffisamment de PF-06755347 dans le sang. Au cours de l'étude :

- 6 doses ont été testées dans le groupe IV ;
- 5 doses ont été testées dans le groupe SC.

Les participants ont passé divers examens et sont restés dans le centre d'étude environ 8 jours. Le personnel de l'étude a également vérifié l'état de santé des participants au cours de cette période. Les participants sont revenus jusqu'à 7 fois au centre d'étude (jusqu'au Jour 71) pour effectuer un contrôle.

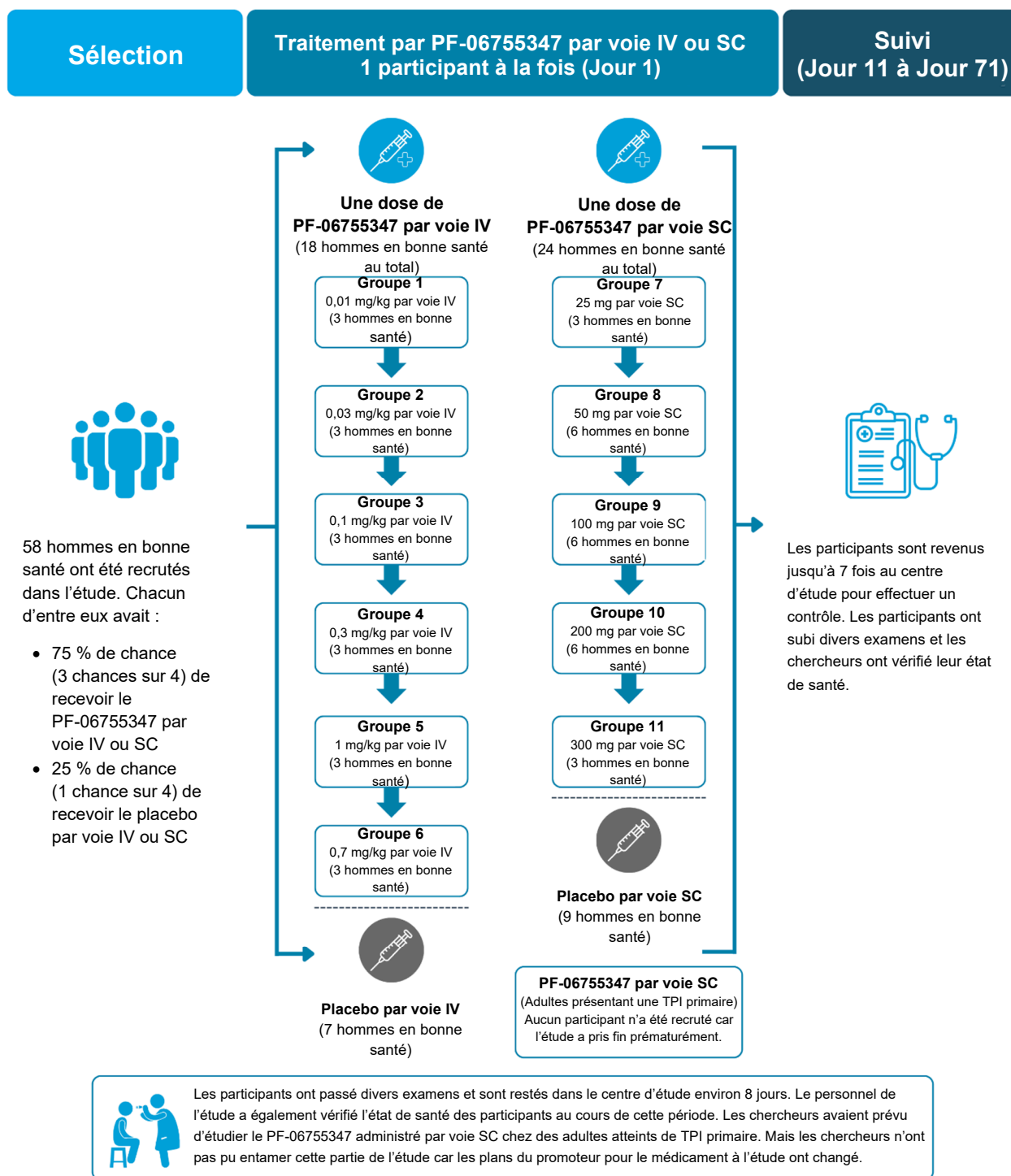
Les chercheurs ont ensuite comparé les résultats des participants ayant reçu le PF-06755347 par voie IV ou SC avec ceux des participants ayant reçu le placebo par voie IV ou SC. Un placebo ne contient aucun médicament, mais ressemble parfaitement au PF-06755347.

Les participants et les chercheurs ne savaient pas qui avait reçu le PF-06755347 ou le placebo. C'est ce que l'on appelle une étude « en aveugle ». Chaque participant avait 75 % de chance (3 chances sur 4) de recevoir le PF-06755347 par voie IV ou SC et 25 % de chance (1 chance sur 4) de recevoir le placebo par voie IV ou SC.

Les chercheurs ont prélevé des échantillons de sang aux participants tout au long de l'étude et ont mesuré la quantité de PF-06755347 chez ces derniers. Les chercheurs ont également examiné l'état de santé des participants tout au long de l'étude et leur ont demandé comment ils se sentaient.

La figure 1 présente le déroulé de l'étude.

Figure 1. Plan de l'étude global



## Où cette étude s'est-elle déroulée ?

Le promoteur a réalisé cette étude dans 4 centres de 4 pays (Belgique, Nouvelle-Zélande, Royaume-Uni et États-Unis). Le promoteur a décidé d'interrompre l'étude menée aux États-Unis. Aucun participant n'a été traité dans cette zone géographique.

## Quand cette étude s'est-elle déroulée ?

Elle a commencé le 17 juillet 2017 et s'est terminée le 6 janvier 2023.

## Qui a participé à cette étude ?

L'étude a inclus 58 participants adultes de sexe masculin en bonne santé. Tous les participants étaient âgés de 18 à 54 ans.

- 54 participants sont allés au bout de l'étude ;
- 4 participants ont quitté l'étude avant la fin, par choix, en raison d'un problème médical ou pour d'autres raisons.

## Combien de temps l'étude a-t-elle duré ?

Les participants ont été inclus dans l'étude pendant 71 jours maximum. L'étude a duré environ 5 ans et demi.

Le promoteur a mis fin à l'étude avant que les participants atteints de TPI ne puissent être recrutés dans l'étude. L'étude a été interrompue plus tôt que prévu en raison d'un changement dans les plans du promoteur concernant le médicament à l'étude. Cela n'était pas dû à des problèmes de sécurité liés au PF-06755347.

Lorsque l'étude a pris fin en janvier 2023, le promoteur a débuté l'analyse des informations recueillies. Le promoteur a ensuite établi un rapport à partir des résultats, dont voici un résumé.

## Quels ont été les résultats de l'étude ?

---

### **Des problèmes de sécurité ont-ils été observés chez les participants après l'administration d'une dose de PF-06755347 par voie IV ou SC ?**

Pour répondre à cette question, les chercheurs ont examiné les résultats des analyses de sang, les constantes vitales (pression artérielle, fréquence cardiaque et température corporelle) et l'électrocardiogramme (ECG) des participants. L'ECG permet de vérifier si le cœur bat sainement.

Les chercheurs ont détecté quelques résultats anormaux au niveau des analyses de sang, des constantes vitales ou de l'ECG. Néanmoins, les résultats globaux n'ont pas soulevé de problèmes de sécurité lorsque les participants n'ont reçu qu'une dose unique de PF-06755347 :

- moins de 0,7 mg/kg dans le groupe IV ;
- jusqu'à 300 mg dans le groupe SC.

Cela ne signifie pas que tous les participants à cette étude ont présenté les mêmes résultats. Nous présentons ici un résumé d'une partie seulement des principaux résultats de cette étude. D'autres études peuvent aboutir à des résultats différents.

## Quels problèmes médicaux les participants ont-ils rencontrés pendant l'étude ?

---

Les chercheurs ont enregistré l'ensemble des problèmes médicaux développés par les participants au cours de l'étude. Les participants peuvent avoir eu des problèmes médicaux pour des raisons non liées à l'étude (par exemple, causés par une maladie sous-jacente inconnue ou par hasard). Les problèmes médicaux peuvent également avoir été

provoqués par un traitement à l'étude ou par un autre médicament que le participant prenait. Parfois, la cause d'un problème médical n'est pas connue. En comparant les problèmes médicaux de nombreux groupes de traitement dans plusieurs études, les médecins essaient de comprendre les effets qu'un médicament à l'étude pourrait avoir sur un participant.

Dans l'ensemble, 50 des 58 participants (86 %) ont présenté au moins 1 problème médical.

Dans le groupe IV, au moins 1 problème médical a été observé chez :

- 17 des 18 participants (94 %) ayant reçu le PF-06755347 ;
- 4 des 7 participants (57 %) ayant reçu le placebo.

Un (1) des 18 participants (6 %) ayant reçu le PF-06755347 par voie IV a quitté l'étude en raison d'un problème médical.

Le tableau 1 présente les problèmes médicaux les plus fréquents observés chez 3 participants ou plus dans l'un ou l'autre groupe IV :

Voici des instructions pour interpréter le tableau 1.

**Instructions pour interpréter le tableau 1.**

- La 1<sup>re</sup> colonne du tableau 1 énumère les problèmes médicaux fréquemment observés chez 3 participants ou plus ayant reçu un médicament à l'étude par voie IV.
- La 2<sup>e</sup> colonne indique combien des 18 participants ayant reçu une dose de PF-06755347 par voie IV (quel que soit le palier de dose) ont signalé chaque problème médical dans l'ensemble. À côté de ce chiffre figure le pourcentage global des 18 participants ayant reçu une dose de PF-06755347 par

voie IV (quel que soit le palier de dose) qui ont signalé le problème médical.

- La 3<sup>e</sup> colonne indique combien des 7 participants sous placebo par voie IV ont signalé chaque problème médical. Ce nombre est suivi du pourcentage des 7 participants sous placebo par voie IV qui ont signalé le problème médical.
- En suivant ces instructions, vous pouvez constater que 6 des 18 participants (33 %) ayant reçu le PF-06755347 par voie IV ont signalé des maux de tête. Zéro (0) des 7 participants (0 %) ayant reçu le placebo par voie IV ont signalé des maux de tête.

**Tableau 1. Problèmes médicaux fréquemment rapportés par les participants (groupe IV)**

<b>Problème médical</b>	<b>Total pour le PF-06755347 par voie IV (18 participants)</b>	<b>Placebo par voie IV (7 participants)</b>
<b>Maux de tête</b>	6 participants sur 18 (33 %)	0 participant sur 7 (0 %)
<b>Sensation de malaise ou nausées</b>	4 participants sur 18 (22 %)	0 participant sur 7 (0 %)
<b>Fièvre, souvent observée après la</b>	4 participants sur 18 (22 %)	0 participant sur 7 (0 %)

**Tableau 1. Problèmes médicaux fréquemment rapportés par les participants (groupe IV)**

<b>Problème médical</b>	<b>Total pour le PF-06755347 par voie IV (18 participants)</b>	<b>Placebo par voie IV (7 participants)</b>
<b>prise d'un médicament destiné à affecter le système immunitaire, parfois accompagnée d'une baisse de la pression artérielle</b>		
<b>Douleurs au dos</b>	4 participants sur 18 (22 %)	0 participant sur 7 (0 %)
<b>Sensation de froid</b>	3 participants sur 18 (17 %)	0 participant sur 7 (0 %)

Dans le groupe SC, au moins 1 problème médical a été observé chez :

- 23 des 24 participants (96 %) ayant reçu le PF-06755347 ;
- 6 des 9 participants (67 %) ayant reçu le placebo.

Aucun participant ayant reçu le PF-06755347 ou le placebo par voie SC n'a quitté l'étude en raison d'un problème médical.

Le tableau 2 présente les problèmes médicaux les plus fréquents observés chez 3 participants ou plus dans l'un ou l'autre groupe SC :

Voici des instructions pour interpréter le tableau 2.

**Instructions pour interpréter le tableau 2.**

- La 1<sup>re</sup> colonne du tableau 2 énumère les problèmes médicaux fréquemment observés chez 3 participants ou plus ayant reçu un médicament à l'étude par voie SC.
- La 2<sup>e</sup> colonne indique combien des 24 participants ayant reçu une dose de PF-06755347 par voie SC (quel que soit le palier de dose) ont signalé chaque problème médical dans l'ensemble. À côté de ce chiffre figure le pourcentage global des 24 participants ayant reçu une dose de PF-06755347 par voie SC (quel que soit le palier de dose) qui ont signalé le problème médical.
- La 3<sup>e</sup> colonne indique combien des 9 participants sous placebo par voie SC ont signalé chaque problème médical. Ce nombre est suivi du pourcentage des 9 participants sous placebo par voie SC qui ont signalé le problème médical.
- En suivant ces instructions, vous pouvez constater que 11 des 24 participants (46 %) ayant reçu le PF-06755347 par voie SC ont signalé une rougeur au site d'injection. Zéro (0) des 9 participants (0 %) ayant reçu le placebo par voie SC ont signalé une rougeur au site d'injection.

**Tableau 2. Problèmes médicaux fréquemment rapportés par les participants (groupe SC)**

<b>Problème médical</b>	<b>Total pour le PF-06755347 par voie SC (24 participants)</b>	<b>Placebo par voie SC (9 participants)</b>
<b>Rougeur au site d'injection</b>	11 participants sur 24 (46 %)	0 participant sur 9 (0 %)
<b>Douleur au site d'injection</b>	5 participants sur 24 (21 %)	0 participant sur 9 (0 %)
<b>Sensation de fatigue</b>	4 participants sur 24 (17 %)	2 participants sur 9 (22 %)
<b>Douleurs au dos</b>	4 participants sur 24 (17 %)	1 participant sur 9 (11 %)
<b>Maux de tête</b>	4 participants sur 24 (17 %)	0 participant sur 9 (0 %)
<b>Infection du nez et de la gorge (rhume)</b>	3 participants sur 24 (13 %)	0 participant sur 9 (0 %)

## Les participants à l'étude ont-ils présenté de graves problèmes médicaux ?

---

Un problème médical est considéré comme « grave » lorsqu'il engage le pronostic vital, nécessite des soins hospitaliers ou entraîne des problèmes durables.

Dans l'ensemble, 1 participant sur 58 (2 %) a présenté un problème médical grave. Le participant a présenté de la fièvre et une pression artérielle très basse, ce qui est fréquent après avoir reçu un médicament conçu pour agir sur le système immunitaire, environ 1 heure et 15 minutes après avoir reçu le PF-06755347 par voie IV. Le participant a reçu des médicaments immédiatement et s'est rétabli le lendemain. Les chercheurs pensent que ce problème médical grave était lié au PF-06755347. Aucun participant n'est décédé au cours de l'étude.

## Où puis-je trouver plus d'informations au sujet de cette étude ?

---

Si vous avez des questions concernant les résultats de votre étude, veuillez contacter le médecin de l'étude ou le personnel de votre centre. Pour de plus amples informations sur votre protocole d'étude, veuillez consulter :

[www.pfizer.com/research/  
research\\_clinical\\_trials/trial\\_results](http://www.pfizer.com/research/research_clinical_trials/trial_results)

Utilisez le numéro de  
protocole **B7801001**

Le rapport scientifique complet de cette étude est disponible en ligne à l'adresse :

[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

Utilisez l'identifiant de  
l'étude **NCT03275740**

[www.clinicaltrialsregister.eu](http://www.clinicaltrialsregister.eu)

Utilisez l'identifiant de  
l'étude **2018-003315-21**

N'oubliez pas que les chercheurs s'appuient sur les résultats de nombreuses études pour déterminer quels médicaments sont efficaces et sûrs pour les patients.

Une fois de plus, si vous avez participé  
à cette étude, **merci** de vous être  
porté(e) volontaire.  
Nous effectuons des recherches pour



essayer de trouver les meilleurs moyens  
d'aider les patients, et vous nous avez  
aidés dans cette tâche !