

Ergebnisse der klinischen Studie

In dieser Zusammenfassung wird über die Ergebnisse von nur einer Studie berichtet. Um zu verstehen, ob und wie ein untersuchtes Medikament wirkt und für die Anwendung bei Patienten sicher ist, müssen Forschende die Ergebnisse vieler verschiedener Studien berücksichtigen. Die Ergebnisse dieser Studie könnten sich von den Ergebnissen anderer von den Forschenden geprüfter Studien unterscheiden.

Sponsor Pfizer Inc.
(Auftraggeber der Studie):

Geprüfte(s) PF-06755347
Arzneimittel:

Prüfplannummer: B7801001

Zeitraum der Studie: 17. Juli 2017 bis 06. Januar 2023

Titel dieser Studie: Eine Studie zu PF-06755347 bei gesunden Männern

[Eine randomisierte, doppelblinde, sponsoroffene, placebokontrollierte Phase-1- und First-in-Human-Studie zur Bewertung der Sicherheit, Verträglichkeit und Pharmakokinetik von PF-06755347 nach einmaliger ansteigender intravenöser und subkutaner Dosierung bei gesunden erwachsenen männlichen Teilnehmern und nach einmaliger subkutaner Dosierung bei männlichen und weiblichen

Teilnehmern mit persistierender oder
chronischer primärer Immunthrombozytopenie]

Datum des Berichts: 30. November 2023

– Vielen Dank –

Wenn Sie an dieser Studie teilgenommen haben, möchte Pfizer, der Sponsor, sich bei Ihnen für Ihre Teilnahme bedanken.

In dieser Zusammenfassung werden die Ergebnisse der Studie beschrieben. Bei Fragen zur Studie oder zu den Ergebnissen wenden Sie sich bitte an den Arzt oder die Mitarbeitenden an Ihrem Prüfzentrum.

Warum wurde diese Studie durchgeführt?

Was ist eine primäre Immunthrombozytopenie?

Die primäre Immunthrombozytopenie (ITP) ist eine Krankheit, bei der die Zahl der Blutplättchen im Blut sehr niedrig ist. Blutplättchen helfen bei der Blutgerinnung, mit der der Körper verhindert, dass eine Wunde zu stark blutet.

Bei der primären ITP greift das körpereigene Immunsystem fälschlicherweise die Blutplättchen im Blut an. Dies führt dazu, dass die Zahl der Blutplättchen bei den Betroffenen sehr niedrig ist und sie leicht bluten oder Blutergüsse bekommen.

Was ist PF-06755347?

PF-06755347 ist ein injizierbares Arzneimittel, das in dieser Studie getestet wurde. Es besteht aus Teilen von Proteinen, den so genannten Immunglobulinen, die das körpereigene Immunsystem bei der Bekämpfung von Krankheiten unterstützen sollen. Die Forschenden glauben, dass PF-06755347 Menschen mit primärer ITP helfen kann.

In dieser Studie wurde PF-06755347 mit 2 Injektionsarten verabreicht:

- in eine Vene oder „intravenös“ (IV)
- unter die Haut oder „subkutan“ (SC)

Was war das Ziel dieser Studie?

Das Hauptziel dieser Studie war es, herauszufinden, ob die IV- oder SC-Verabreichung einer Dosis von PF-06755347 an gesunde erwachsene männliche Teilnehmer sicher ist. Die Forschenden planten ursprünglich auch, PF-06755347 bei Erwachsenen mit primärer ITP zu untersuchen. Die Forschenden waren jedoch nicht in der Lage, diesen Teil der Studie zu

beginnen, da sich die Pläne des Sponsors für die Studienmedikation änderten.

Folgendes wollten die Forschenden herausfinden:

- **Gab es Sicherheitsbedenken bei den Teilnehmern, nachdem sie eine IV- oder SC-Dosis von PF-06755347 erhalten hatten?**
 - **Welche gesundheitlichen Probleme hatten die Teilnehmer während der Studie?**
-

Was geschah während der Studie?

Wie wurde die Studie durchgeführt?

Die Forschenden wollten herausfinden, ob eine IV- oder SC-Dosis von PF-06755347 sicher ist, wenn sie gesunden erwachsenen männlichen Teilnehmern verabreicht wird. Dazu wurde die IV- oder SC-Dosis von PF-06755347 langsam erhöht und nacheinander an verschiedenen Teilnehmergruppen getestet.

PF-06755347 wurde zunächst in sehr niedrigen Dosen getestet:

- 0,01 mg/kg PF-06755347 IV in einer Teilnehmergruppe
- 25 mg PF-06755347 SC in einer anderen Teilnehmergruppe

Alle Teilnehmer in der IV- oder SC-Gruppe erhielten an Tag 1 einer nach dem anderen jeweils eine Einzeldosis des ihnen zugewiesenen Studienmedikaments. Nach der Verabreichung der Studienmedikamente überprüften die Forschenden den Gesundheitszustand der Teilnehmer. Bevor ein anderer Teilnehmer derselben Gruppe ein Studienmedikament erhielt, wurden diejenigen, die PF-06755347 als Infusion erhielten,

mindestens 96 Stunden lang beobachtet, und diejenigen, denen PF-06755347 subkutan verabreicht wurde, wurden mindestens 120 Stunden lang beobachtet.

Zu Beginn der Studie erhielten Teilnehmer PF-06755347 per Infusion. Die nächsthöhere Dosis von PF-06755347 wurde der nächsten Teilnehmergruppe verabreicht, wenn keine Sicherheitsbedenken auftraten. Die Dosis konnte aus Sicherheitsgründen zwischen den einzelnen Verabreichungen gesenkt werden. Der Sponsor hat die Studie so umgestaltet, dass die Verabreichung subkutan erfolgte, wenn die höchste intravenöse Dosis von PF-06755347, die nicht zu schweren medizinischen Problemen führte (0,3 mg/kg), nicht genügend PF-06755347 im Blut erzeugte. In der Studie:

- wurden in der IV-Gruppe 6 Dosisstufen getestet.
- wurden in der SC-Gruppe 5 Dosisstufen getestet.

Die Teilnehmer wurden verschiedenen Tests unterzogen und blieben etwa 8 Tage lang am Prüfbzentrum. Das Studienpersonal überprüfte während dieser Zeit auch den Gesundheitszustand der Teilnehmer. Die Teilnehmer kehrten bis zum 71. Tag bis zu 7 Mal zur Nachuntersuchung in das Prüfbzentrum zurück.

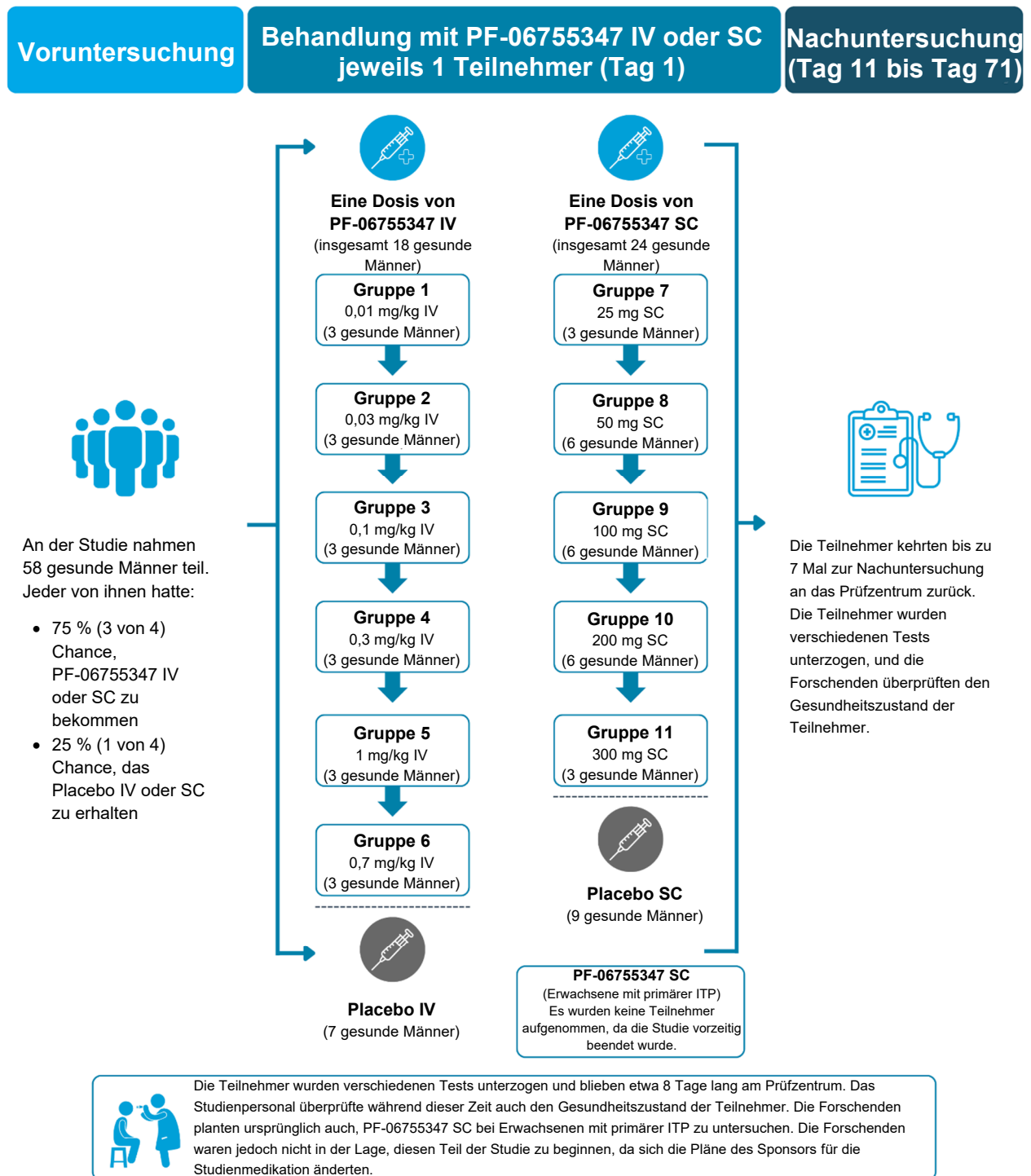
Die Forschenden verglichen dann die Ergebnisse derjenigen, die PF-06755347 intravenös oder subkutan erhielten, mit den Ergebnissen derjenigen, die ein Placebo intravenös oder subkutan erhielten. Ein Placebo enthält keine Medikamente, sieht aber genauso aus wie PF-06755347.

Teilnehmer und Forschende wussten nicht, wer PF-06755347 oder ein Placebo erhielt. Das nennt man eine „Blindstudie“. Jeder Teilnehmer hatte eine 75%ige Chance (3 von 4), PF-06755347 IV oder SC zu erhalten, und eine 25%ige Chance (1 von 4), das Placebo IV oder SC zu erhalten.

Die Forschenden entnahmen den Teilnehmern während der gesamten Studie Blutproben und maßen den Spiegel von PF-06755347 im Blut. Die Forschenden überprüften auch den Gesundheitszustand der Teilnehmer während der gesamten Studie und fragten sie nach ihrem Befinden.

Abbildung 1 zeigt, was während der Studie geschah.

Abbildung 1. Allgemeines Studiendesign



Wo fand die Studie statt?

Der Sponsor führte diese Studie an 4 Standorten in 4 Ländern durch (Belgien, Großbritannien, Neuseeland und Vereinigte Staaten). Der Sponsor beschloss, die Studie in den Vereinigten Staaten zu beenden. An diesem Standort erfolgten keine Verabreichungen von Medikamenten oder Placebos an Teilnehmer.

Wann fand die Studie statt?

Sie begann am 17. Juli 2017 und endete am 06. Januar 2023.

Wer nahm an dieser Studie teil?

An der Studie nahmen 58 gesunde erwachsene Männer teil. Alle Teilnehmer waren zwischen 18 und 54 Jahre alt.

- 54 Teilnehmer absolvierten die Studie vollständig.
- 4 Teilnehmer verließen die Studie vorzeitig auf eigenen Wunsch, aufgrund eines medizinischen Problems oder aus anderen Gründen.

Wie lange dauerte die Studie?

Die Studienteilnehmer nahmen bis zu 71 Tage lang an der Studie teil. Die gesamte Studie dauerte etwa 5,5 Jahre.

Der Sponsor beendete die Studie, bevor Teilnehmer mit ITP in die Studie aufgenommen werden konnten. Die Studie wurde wegen einer Änderung der Pläne des Sponsors für die Studienmedikation früher als geplant abgebrochen. Dies geschah nicht aufgrund von Sicherheitsbedenken bei PF-06755347.

Als die Studie im Januar 2023 endete, begann der Sponsor mit der Überprüfung der gesammelten Informationen. Der Sponsor erstellte im

Anschluss einen Bericht über die Ergebnisse. Dies ist eine Zusammenfassung dieses Berichts.

Was waren die Ergebnisse der Studie?

Gab es Sicherheitsbedenken bei den Teilnehmern, nachdem sie eine IV- oder SC-Dosis von PF-06755347 erhalten hatten?

Um diese Frage zu beantworten, untersuchten die Forschenden die Ergebnisse der Bluttests, die Vitalparameter (Blutdruck, Herzfrequenz und Körpertemperatur) und das Elektrokardiogramm (EKG) der Teilnehmer. Mit einem EKG wird festgestellt, ob das Herz gesund schlägt.

Die Forschenden fanden ein paar abnormale Ergebnisse bei Bluttests, Vitalfunktionen oder EKG. Die Gesamtergebnisse gaben jedoch keinen Anlass zu Sicherheitsbedenken, wenn die Teilnehmer nur eine Dosis von PF-06755347 erhielten:

- unter 0,7 mg/kg in der IV-Gruppe.
- bis zu 300 mg in der SC-Gruppe.

Das bedeutet nicht, dass alle Studienteilnehmer diese Ergebnisse aufwiesen. Dies ist lediglich eine Zusammenfassung einiger der wichtigsten Ergebnisse der Studie. Andere Studien können zu anderen Ergebnissen kommen.

Welche gesundheitlichen Probleme hatten die Teilnehmer während der Studie?

Die Forschenden dokumentierten alle gesundheitlichen Probleme, die während der Studie bei den Teilnehmern auftraten. Die Teilnehmer könnten aus Gründen, die nicht mit der Studie zusammenhängen,

medizinische Probleme gehabt haben (z. B. aufgrund einer unbekannten Grunderkrankung oder durch Zufall). Die gesundheitlichen Probleme könnten allerdings auch durch ein Studienmedikament oder ein anderes Medikament, das die Teilnehmer einnahmen/anwendeten, verursacht worden sein. Manchmal ist die Ursache eines gesundheitlichen Problems unbekannt. Ärzte vergleichen die gesundheitlichen Probleme in mehreren Behandlungsgruppen vieler Studien, um zu verstehen, welche Wirkungen ein Studienmedikament auf einen Teilnehmer haben könnte.

Insgesamt hatten 50 von 58 Teilnehmern (86 %) mindestens ein gesundheitliches Problem.

In der IV-Gruppe wurde mindestens 1 gesundheitliches Problem festgestellt:

- bei 17 von 18 Teilnehmern (94 %), die PF-06755347 erhielten.
- bei 4 von 7 Teilnehmern (57 %), die ein Placebo erhielten.

Einer (1) von 18 Teilnehmern (6 %), die PF-06755347 intravenös erhielten, verließ die Studie aufgrund eines gesundheitlichen Problems.

Tabelle 1 zeigt die häufigsten gesundheitlichen Probleme, die bei 3 oder mehr Teilnehmern in beiden IV-Gruppen auftraten:

Nachstehend finden Sie einige Hinweise zum Verständnis von Tabelle 1.

Hinweise zum Verständnis von Tabelle 1.

- In der **1.** Spalte von Tabelle 1 sind gesundheitliche Probleme aufgeführt, die bei 3 oder mehr Teilnehmern, die ein Studienmedikament intravenös erhielten, auftraten.
- In der **2.** Spalte ist angegeben, wie viele der 18 Teilnehmer, die eine Dosis von PF-06755347 intravenös erhielten (unabhängig von der Dosierung), insgesamt jedes

gesundheitliche Problem meldeten. Neben dieser Zahl steht der Gesamtanteil der 18 Teilnehmer, die eine Dosis PF-06755347 intravenös erhielten (unabhängig von der Dosierung), die dieses gesundheitliche Problem meldeten.

- In der **3. Spalte** ist angegeben, wie viele der 7 Teilnehmer, die das Placebo intravenös erhielten, die einzelnen gesundheitlichen Probleme meldeten. Neben dieser Zahl steht der Prozentsatz der 7 Teilnehmer, die das Placebo intravenös erhielten und das gesundheitliche Problem meldeten.
- Mithilfe dieser Hinweise können Sie sehen, dass 6 von 18 Teilnehmern (33 %), die PF-06755347 intravenös erhielten, Kopfschmerzen meldeten. Null (0) von 7 Teilnehmern (0 %), die das Placebo intravenös erhielten, meldeten Kopfschmerzen.

Tabelle 1. Von den Teilnehmern häufig gemeldete gesundheitliche Probleme (IV-Gruppe)

Gesundheitliche s Problem	PF-06755347 IV Insgesamt (18 Teilnehmer)	Placebo IV (7 Teilnehmer)
Kopfschmerzen	6 von 18 Teilnehmern (33 %)	0 von 7 Teilnehmern (0 %)
Unwohlsein oder Übelkeit	4 von 18 Teilnehmern (22 %)	0 von 7 Teilnehmern (0 %)

Tabelle 1. Von den Teilnehmern häufig gemeldete gesundheitliche Probleme (IV-Gruppe)

Gesundheitliches Problem	PF-06755347 IV Insgesamt (18 Teilnehmer)	Placebo IV (7 Teilnehmer)
Fieber, das häufig nach der Einnahme eines Medikaments auftritt, welches das Immunsystem beeinflussen soll, manchmal mit einem niedrigeren Blutdruck	4 von 18 Teilnehmern (22 %)	0 von 7 Teilnehmern (0 %)
Rückenschmerzen	4 von 18 Teilnehmern (22 %)	0 von 7 Teilnehmern (0 %)
Kältegefühl	3 von 18 Teilnehmern (17 %)	0 von 7 Teilnehmern (0 %)

In der SC-Gruppe wurde mindestens 1 gesundheitliches Problem festgestellt:

- bei 23 von 24 Teilnehmern (96 %), die PF-06755347 erhielten.
- bei 6 von 9 Teilnehmern (67 %), die ein Placebo erhielten.

Kein Teilnehmer, der PF-06755347 oder ein Placebo subkutan erhielt, verließ die Studie aufgrund eines gesundheitlichen Problems.

Tabelle 2 zeigt die häufigsten gesundheitlichen Probleme, die bei 3 oder mehr Teilnehmern in beiden SC-Gruppen auftraten:

Nachstehend finden Sie einige Hinweise zum Verständnis von Tabelle 2.

Hinweise zum Verständnis von Tabelle 2.

- In der **1. Spalte** von Tabelle 2 sind die gesundheitlichen Probleme aufgeführt, die bei 3 oder mehr Teilnehmern, die ein Studienmedikament subkutan erhielten, auftraten.
- In der **2. Spalte** ist angegeben, wie viele der 24 Teilnehmer, die eine Dosis PF-06755347 subkutan erhielten (unabhängig von der Dosierung), insgesamt jedes gesundheitliche Problem meldeten. Neben dieser Zahl steht der Gesamtanteil der 24 Teilnehmer, die eine Dosis PF-06755347 subkutan erhielten (unabhängig von der Dosierung), die das gesundheitliche Problem meldeten.
- In der **3. Spalte** ist angegeben, wie viele der 9 Teilnehmer, die das Placebo subkutan erhielten, jedes gesundheitliche Problem meldeten. Neben dieser Zahl steht der prozentuale Anteil der 9 Teilnehmer, die das Placebo subkutan erhielten und das gesundheitliche Problem meldeten.
- Mithilfe dieser Hinweise können Sie sehen, dass 11 von 24 Teilnehmern (46 %), die PF-06755347 subkutan erhielten, Rötungen an der Injektionsstelle meldeten. Null (0) von 9 Teilnehmern (0 %), die das Placebo subkutan erhielten, meldeten Rötungen an der Injektionsstelle.

Tabelle 2. Von den Teilnehmern häufig gemeldete gesundheitliche Probleme (SC-Gruppe)

Gesundheitliche s Problem	PF-06755347 SC Gesamt (24 Teilnehmer)	Placebo SC (9 Teilnehmer)
Rötung an der Injektionsstelle	11 von 24 Teilnehmern (46 %)	0 von 9 Teilnehmern (0 %)
Schmerzen an der Injektionsstelle	5 von 24 Teilnehmern (21 %)	0 von 9 Teilnehmern (0 %)
Müdigkeit	4 von 24 Teilnehmern (17 %)	2 von 9 Teilnehmern (22 %)
Rückenschmerzen	4 von 24 Teilnehmern (17 %)	1 von 9 Teilnehmern (11 %)
Kopfschmerzen	4 von 24 Teilnehmern (17 %)	0 von 9 Teilnehmern (0 %)
Infektion der Nase und des Rachens (Erkältung)	3 von 24 Teilnehmern (13 %)	0 von 9 Teilnehmern (0 %)

Traten bei den Studienteilnehmern schwerwiegende gesundheitliche Probleme auf?

Ein gesundheitliches Problem gilt als „schwerwiegend“, wenn es lebensbedrohlich ist, eine Krankenhausbehandlung erfordert oder dauerhafte Probleme verursacht.

Insgesamt hatte 1 von 58 Teilnehmern (2 %) ein schwerwiegendes gesundheitliches Problem. Der Teilnehmer hatte etwa 1 Stunde und 15 Minuten nach der intravenösen Verabreichung von PF-06755347 Fieber mit sehr niedrigem Blutdruck, wie es nach der Verabreichung eines Medikaments, das das Immunsystem beeinflussen soll, häufig auftritt. Der Teilnehmer wurde sofort mit Medikamenten behandelt und hatte sich am nächsten Tag wieder erholt. Die Forschenden glauben, dass dieses schwerwiegende gesundheitliche Problem mit PF-06755347 zusammenhing. Kein Teilnehmer starb während der Studie.

Wo kann ich mehr über diese Studie erfahren?

Bei Fragen zu den Ergebnissen Ihrer Studie wenden Sie sich bitte an den Arzt oder die Mitarbeitenden an Ihrem Prüfzentrum.

Weitere Einzelheiten zu Ihrem Studienplan finden Sie im Internet:

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

Verwenden Sie die
Prüfplannummer **B7801001**

Der vollständige wissenschaftliche Bericht zu dieser Studie ist online verfügbar unter:

www.clinicaltrials.gov

Verwenden Sie die Studien-
Identifikationsnummer
NCT03275740

www.clinicaltrialsregister.eu

Verwenden Sie die Studien-
Identifikationsnummer
2018-003315-21

Bitte beachten Sie, dass Forschende die Ergebnisse vieler Studien untersuchen, um herauszufinden, welche Medikamente wirken und für Patienten und Patientinnen sicher sind.

Wenn Sie an dieser Studie
teilgenommen haben, nochmals **vielen**
Dank für Ihre freiwillige Teilnahme.
Wir erforschen die besten

Möglichkeiten,
um Patienten zu helfen, und Sie haben
uns dabei geholfen!