

Klinikai vizsgálati eredmények

Ez az összefoglaló kizárólag egyetlen vizsgálat eredményeiről számol be.

A kutatóknak sokféle vizsgálat eredményeit kell átnézniük annak megértése érdekében, hogy adott vizsgálati gyógyszer hatásos-e, hogyan hat, és biztonságos-e felírni a betegek számára. A jelen vizsgálat eredményei különbözhetnek a kutatók által áttekintett más vizsgálatok eredményeitől.

Megbízó: Pfizer Inc.

Vizsgálati gyógyszer(ek): PF-06823859 (dazukibart)

Vizsgálati terv száma: C0251008

A vizsgálat időtartama: 2021. december 20-tól 2023. november 20-ig

A vizsgálat címe: Az aktív dermatomiozitiszben szenvedő felnőtt résztvevők PF-06823859 gyógyszerrel történő kezelése biztonságosságának értékelésére szolgáló vizsgálat

[Nyílt, hosszú távú kiterjesztéses vizsgálat a PF-06823859 biztonságosságának vizsgálatára 18 és 80 éves közötti felnőtt, aktív dermatomiozitiszben szenvedő résztvevők körében.]

A jelentés kelte: 2024. augusztus 4.

– Köszönjük! –

Ha részt vett ebben a vizsgálatban, a Pfizer mint megbízó szeretne köszönetet mondani Önnek a részvételéért.

Ez az összefoglaló ismerteti a vizsgálat eredményeit. Ha kérdése van a vizsgálattal vagy az eredményekkel kapcsolatban, kérjük, forduljon a vizsgálóhely orvosához vagy a vizsgálóhely munkatársaihoz.

Miért végeztük a vizsgálatot?

Milyen típusú betegség a dermatomiozitisz?

A dermatomiozitisz (DM) egy ritka betegség, amely izomgyengeséget és/vagy -gyulladást és bőrkiütést okoz. A tünetek közé tartozhat a szemhéjak körüli vörös bőrkiütés, az ízületek körüli vörös duzzanat, valamint a karok és lábak izomgyengesége. Ez a miopátiák egyik formája. Ez az izmokat érintő betegségek általános elnevezése.

Milyen típusú gyógyszer a dazukibart (PF-06823859)?

A dazukibart egy vizsgálati gyógyszer. Jelenleg az egészségügyi hatóságok nem engedélyezték a használatát azokban az országokban, ahol ezt a vizsgálatot végezték. Infúzió formájában, vénába adják. A dazukibart az immunrendszer egy jelzőfehérjét veszi célba. A jelzőfehérje megmondja a szervezet sejtjeinek, hogyan reagáljanak, például hogyan küzdjenek a fertőzések ellen. Olyan betegségben, mint a DM, ez a jelzőfehérje nagy mennyiségben fordul elő. Úgy gondolják, hogy ennek a jelzőfehérjének a gátlása segíthet a DM kezelésében. A kutatók a DM lehetséges kezeléseként tanulmányozzák. A jövőben különböző vagy hasonló állapotok kezelésére is vizsgálhatják.

Mi volt a vizsgálat célja?

A vizsgálat fő célja az volt, hogy megállapítsa, mennyire biztonságos és tolerálható a dazukibart, ha hosszú ideig alkalmazzák. Ebben a vizsgálatban a dazukibartot olyan résztvevőknek adták, akik egy korábbi vizsgálatban (C0251002) már kapták ezt a vizsgálati gyógyszert.

A kutatók a következőt akarták megtudni:

Mennyire biztonságos és tolerálható a dazukibart hosszú idejű alkalmazása?

Voltak-e a dazukibartot hosszú távon kapó résztvevőknél nem kívánt változások az alábbiak bármelyikében?

- Élettani paraméterek (légzés és keringés)
- Laboratóriumi vizsgálatok
- Elektrokardiográfiás (EKG) vizsgálat. Az EKG-vizsgálattal azt értékelik, hogy a szív milyen jól működik.

Mi történt a vizsgálat során?

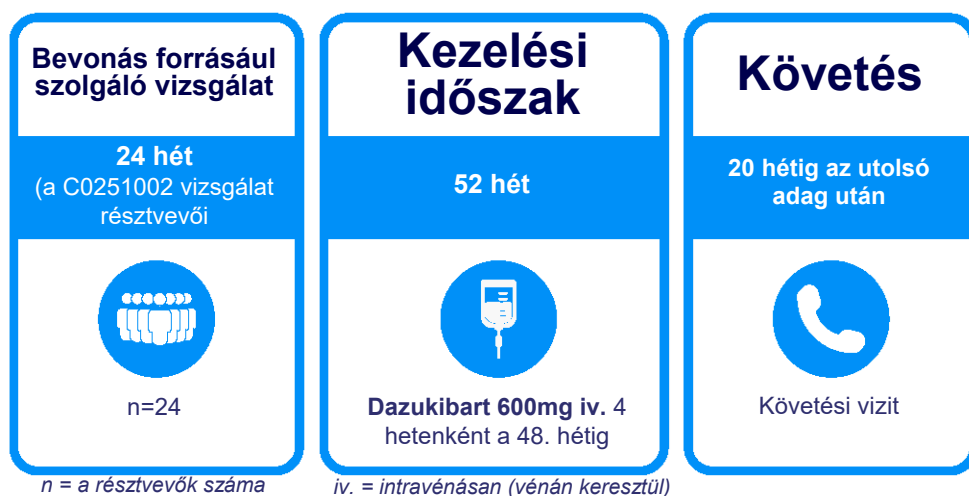
Hogyan zajlott a vizsgálat?

A kutatók a dazukibartot a DM-ben szenvedő és egy korábbi vizsgálatban (C0251002) részt vevő vizsgálati résztvevők egy csoportján tesztelték, hogy kiderítsék, a dazukibartot hosszú távon kapó vizsgálati résztvevőknél jelentkeztek-e nemkívánatos egészségi problémák.

Ez egy „nyílt elrendezésű” vizsgálat volt, ami azt jelenti, hogy a vizsgálatban résztvevők és a kutatók tudták, hogy a résztvevők mit kapnak.

A résztvevőket „szűrték”, hogy megbizonyosodjanak arról, hogy részt vehetnek-e a vizsgálatban. Minden alkalmas résztvevő (akik a C0251002 vizsgálatban részt vettek) 600 mg dazukibartot kapott intravénásan (vénán keresztül) 4 hetente, legfeljebb 52 hétig a kezelési időszak alatt. Minden résztvevőt 16 hétig követtek a kezelési időszak után, az 1. ábrán látható követési időszak alatt. Azok a résztvevők, akik abbahagyták a kezelést, szintén bekerültek a követési időszakba.

A résztvevők élettani paramétereit (vérnyomás, pulzusszám és hőmérséklet) 4 hetente ellenőrizték. 12 hetente végeztek EKG-vizsgálatot és vérvételt. A kutatók minden vizit alkalmával megkérdezték a résztvevőket, hogyan érzik magukat.



Hol végezték a vizsgálatot?

A Megbízó a vizsgálatot 15 helyen, 4 országban (Egyesült Államok, Magyarország, Lengyelország és Spanyolország) végezte.

Mikor zajlott a vizsgálat?

2021. december 20-én kezdődött és 2023. november 20-án ért véget.

Kik vettek részt a vizsgálatban?

A vizsgálatba olyan résztvevőket vontak be, akik 22 és 66 év közöttiek voltak, közepes vagy súlyos DM-ben szenvedtek, és a C0251002-es vizsgálatban vettek részt.

- Összesen 4 férfi vett részt
- Összesen 20 nő vett részt
- A résztvevők életkora 22 és 66 év között volt.

A résztvevőket 48 héten keresztül kellett kezelni, és az utolsó értékelésre az 52. héten került sor. A kezelési fázisba belépő 24 résztvevő közül 21 fejezte azt be.

A 3 résztvevő közül, akik nem fejezték be a kezelési fázist, 1 résztvevő azért hagyta abba, mert a gyógyszer nem hatott jól, 2 résztvevő pedig saját elhatározásából lépett ki.

A követési fázisba belépett 22 résztvevő közül 1 résztvevő saját elhatározásából lépett ki.

Meddig tartott a vizsgálat?

A résztvevők 68 hétig vettek részt a vizsgálatban. A teljes vizsgálat lezárulásáig 23 hónap telt el.

Amikor a vizsgálat 2023 novemberében véget ért, a Megbízó elkezdte áttekinteni az összegyűjtött adatokat. A Megbízó ezt követően jelentést készített az eredményekről. Ez a jelentés összefoglalója.

Milyen eredményeket hozott a vizsgálat?

Voltak-e a dazukibartot hosszú távon kapó résztvevőknél nem kívánt változások az élettani paraméterekben, a laborvizsgálatok eredményében vagy az EKG-ban?

Hány résztvevőnél változtak meg az élettani paraméterek (pulzusszám és vérnyomás) olyan mértékben, amely orvosiilag fontos volt?

Egyetlen résztvevőnél sem volt olyan változás az élettani paraméterekben, amely klinikailag jelentős lett volna. Egy résztvevőnél lépett fel a vérnyomás emelkedése és egynél a vérnyomás csökkenése. Egyik sem volt klinikailag jelentős, és egyik sem nem állt összefüggésben a kezeléssel.

Hány résztvevőnek volt klinikailag jelentős laboratóriumi vizsgálati érték eltérése?

A kezelési időszak alatt összesen 5 rendellenes laboratóriumi értéket jelentettek. Egy résztvevőnél csökkent a vér káliumszintje, 1 résztvevőnél fehérje volt a vizeletben, 1 résztvevőnél alacsony volt vörösvértestszám, 1 résztvevőnél alacsony volt a vér nátriumszintje, és 1 résztvevőnél csökkent a becsült glomeruláris filtrációs ráta (eGFR), ami azt jelenti, hogy csökkent a vesék salakanyagszűrése. Minden laboratóriumi rendellenességről azt állapították meg, hogy nem álltak összefüggésben a vizsgált gyógyszerrel, és azok súlyossága enyhe vagy közepes volt.

Ezen eredmények alapján a kutatók úgy döntöttek, hogy a dazukibart általánosságban biztonságos és jól tolerálható volt.

Hány résztvevőnek voltak klinikailag jelentősen eltérő EKG-vizsgálati értékei?

Egyetlen résztvevőnél sem volt olyan EKG-változás, amely klinikailag jelentős lett volna.

Ez nem azt jelenti, hogy a vizsgálat minden résztvevőjénél ugyanezek az eredmények születtek. Ez egy összefoglaló, amely a vizsgálat fő eredményeinek csak egy részét tartalmazza. Más vizsgálatok eredményei eltérőek lehetnek.

Milyen egészségi problémájuk volt a résztvevőknek a vizsgálat alatt?

A vizsgálók minden egészségi problémát feljegyeztek, amely a résztvevőknél a vizsgálat ideje alatt előfordult. A résztvevőknek a vizsgálatától független okból fellépő egészségi problémájuk is lehetett (például alapbetegség vagy véletlen egybeesés miatt). Az egészségi problémákat okozhatta a vizsgálati kezelés vagy a résztvevő által alkalmazott más gyógyszer is. Előfordul, hogy az egészségi probléma oka nem ismert. Az orvosok számos vizsgálatban számos kezelési csoport egészségi problémáinak összehasonlításával próbálják megérteni, hogy a vizsgálati gyógyszer milyen hatással lehet a résztvevőkre.

A vizsgálat 24 résztvevőjéből 20-nak (83,3%) legalább 1 egészségi problémája volt a 68 hetes vizsgálat során. Egyetlen résztvevő sem lépett ki a vizsgálatból egészségi probléma miatt. Alább ismertetjük a leggyakrabban jelentett egészségi problémákat, amelyekről a résztvevők több mint 5%-a számolt be.

Az alábbiakban olvasható, hogyan kell értelmezni az 1. táblázatot.

Útmutatás az 1. táblázat értelmezéséhez.

- Az 1. táblázat 1. oszlopa a vizsgálat során gyakran jelentett egészségi problémákat sorolja fel. Minden olyan egészségi probléma szerepel a felsorolásban, amelyről a résztvevők több mint 5%-a beszámolt.
- A 2. oszlop azt mutatja, hogy a vizsgálati készítményt kapó 24 résztvevő közül hányan számoltak be az egyes egészségi problémákról. Az emellett látható számadat azt mutatja, hogy a vizsgálati készítményt kapó 24 résztvevő hány százaléka számolt be az adott egészségi problémáról.
- A fenti útmutatás alapján leolvasható, hogy a vizsgálati készítményt kapó 24 résztvevőből 2 (8,3%) esetében lépett fel alacsony vörösvértestszám.

1. táblázat: Olyan egészségi problémák, amelyekről a résztvevők több mint 5%-a számolt be.

Egészségi probléma	Dazukibart (24 résztvevő)
Alacsony vörösvértestszám	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Gyomorfájdalom	24-ből 2 résztvevő (8,3%)

1. táblázat: Olyan egészségi problémák, amelyekről a résztvevők több mint 5%-a számolt be.

Egészségi probléma	Dazukibart (24 résztvevő)
A nagy légutakat érintő fertőzés (bronchitis)	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
COVID-19	24-ből 6 résztvevő (25,0%)
Az orrmelléküregek szöveteinek duzzanata (szinusztitisz)	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Felső légúti fertőzések	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Húgyúti fertőzés	24-ből 3 résztvevő (12,5%)
Hátfájás	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Kar- vagy lábfájdalom	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Fejfájás	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Köhögés	24-ből 2 résztvevő (8,3%)
Viszkető, piros dudorok/foltok a bőrön (urtikária)	24-ből 2 résztvevő (8,3%)

Előfordult-e a résztvevőknél súlyos egészségi probléma?

Adott egészségi probléma akkor tekinthető súlyosnak, ha életveszélyes, kórházi ellátást igényel, vagy maradandó problémákat okoz.

Három résztvevőnek (12,5%) súlyos egészségi problémái voltak. 1 résztvevőnek epeköve volt, 1 résztvevőnek magas volt a vércukor- és ketonszintje (a szervezetben a zsír bontásakor felszabaduló vegyi anyagok), és 1 résztvevőnek alsó végtagi törése volt. Egyik résztvevőnek sem volt herpes zoster fertőzése (övsömör).

A vizsgálat alatt egyetlen beteg sem halt meg.

Hol tudhatok meg többet erről a vizsgálatról?

Ha kérdése van a vizsgálat eredményeivel kapcsolatban, kérjük, forduljon kezelőorvosához vagy a vizsgálati helyszín munkatársaihoz.

Vizsgálati tervvel kapcsolatos további részletekért, kérjük, látogasson el a következő weboldalra:

www.pfizer.com/research/research_clinical_trials/trial_results Használja a következő vizsgálati-terv-számot: C0251008

A vizsgálatról készült teljes tudományos jelentés elérhető online a következő webhelyen:

www.clinicaltrials.gov Használja a következő vizsgálati azonosítót: **NCT05192200**

www.clinicaltrialsregister.eu Használja a következő vizsgálati azonosítót:
2021-004787-10

Kérjük, ne feledje, hogy a kutatók számos vizsgálat eredményét összesítik annak megállapítására, hogy mely készítmények hatásosak és biztonságosak a betegek számára.

Ha részt vett ebben a vizsgálatban, ismételten **megköszönjük** önkéntes részvételét. Kutatásaink célja, hogy a legjobb módon segítsük a betegeket, ehhez pedig Ön is hozzájárult!