

Wyniki badania klinicznego

To podsumowanie przedstawia wyniki tylko tego jednego badania. Badacze muszą przeanalizować wyniki wielu rodzajów badań, aby upewnić się, czy badany lek działa, w jaki sposób działa i czy można go bezpiecznie przepisywać pacjentom. Wyniki tego badania mogą się różnić od wyników innych badań, które analizują badacze.

Sponsor: Pfizer Inc.

Badane leki: PF-06823859 (Dazukibart)

Numer protokołu: C0251008

Czas trwania badania: od 20 grudnia 2021 r. do 20 listopada 2023 r.

Tytuł badania: Badanie mające na celu sprawdzenie bezpieczeństwa PF-06823859 podawanej dorosłym uczestnikom z aktywnym zapaleniem skórno-mięśniowym
[Długoterminowe, rozszerzone badanie otwartej próby mające na celu zbadanie bezpieczeństwa leku PF-06823859 podawanego dorosłym uczestnikom w wieku ≥ 18 i ≤ 80 lat z aktywnym zapaleniem skórno-mięśniowym]

Data sporządzenia niniejszego raportu: 4 sierpnia 2024 r.

– Dziękujemy –

Jeśli była Pani uczestniczką / /był Pan uczestnikiem tego badania, firma Pfizer, będąca Sponsorem tego badania, dziękuje za udział.

W niniejszym podsumowaniu zostaną opisane wyniki badania. W razie jakichkolwiek pytań dotyczących badania lub jego wyników należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie lub personelem ośrodka badawczego.

Dlaczego przeprowadzono to badanie?

Czym jest zapalenie skórno-mięśniowe (*dermatomyositis* – DM)?

Zapalenie skórno-mięśniowe (DM) to rzadka choroba powodująca osłabienie mięśni i/lub stan zapalny oraz wysypkę skórą. Objawy mogą obejmować czerwoną wysypkę skórą wokół powiek, czerwone guzki wokół stawów oraz osłabienie mięśni ramion i nóg. Jest to rodzaj miopatii (choroby mięśni). Jest to ogólne określenie chorób atakujących mięśnie.

Czym jest dazukibart (PF-06823859)?

Badany lek, dazukibart, jest lekiem eksperymentalnym. Lek ten nie został obecnie zatwierdzony do stosowania przez organy ochrony zdrowia w krajach, w których przeprowadzono badanie. Lek podaje się w postaci wlewu dożylnego. Dazukibart oddziałuje na białko sygnałowe w układzie odpornościowym. Białko sygnalizacyjne przekazuje komórkom w organizmie, jak reagować, np. zwalczać infekcje. W przypadku choroby takiej jak DM stężenie białka sygnałowego jest za wysokie. Uważa się, że blokowanie tego białka sygnałowego może pomóc w leczeniu DM. Badacze badali je pod kątem potencjalnego leczenia DM. W przyszłości może być ono badane również w leczeniu różnych/powiązanych schorzeń.

Jaki był cel tego badania?

Głównym celem badania była ocena bezpieczeństwa i tolerancji dazukibartu przy długotrwałym stosowaniu. Podczas tego badania dazukibart podawano uczestnikom, którzy przyjmowali ten badany lek w poprzednim badaniu (C0251002).

Badacze chcieli dowiedzieć się:

Jak bezpieczny i tolerowany jest dazukibart przy długotrwałym stosowaniu?

Czy u uczestników długotrwale przyjmujących dazukibart zaobserwowano nieprawidłowości w którymś z następujących parametrów:

- parametry życiowe,
- badania laboratoryjne,
- badanie elektrokardiograficzne (EKG). EKG to badanie pozwalające ocenić pracę serca.

Co wydarzyło się w trakcie badania?

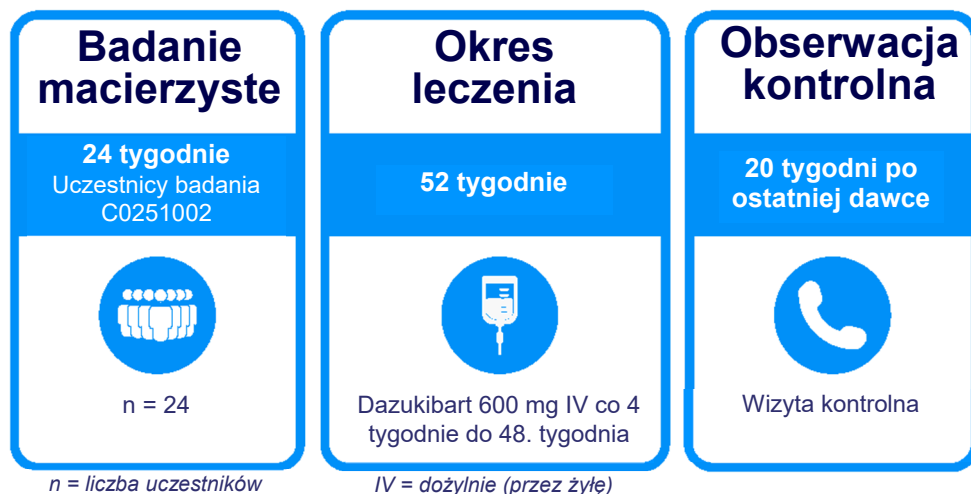
Jak przeprowadzono badanie?

Badacze przetestowali dazukibart w grupie uczestników badania, którzy chorowali na DM i brali udział w poprzednim badaniu (C0251002), aby dowiedzieć się, czy u uczestników badania długotrwale przyjmujących dazukibart wystąpiły jakiegokolwiek niepożądane problemy zdrowotne.

Było to badanie „otwartej próby”, co oznacza, że uczestnicy badania i badacze wiedzieli, co przyjmowali uczestnicy.

Uczestnicy zostali zbadani w celu upewnienia się, że kwalifikują się do udziału w badaniu. Wszyscy kwalifikujący się uczestnicy (uczestnicy badania C0251002) otrzymywali 600 mg dazukibartu dożylnie (przez żyłę) co 4 tygodnie przez okres do 52 tygodni w trakcie trwania leczenia. Wszyscy uczestnicy byli monitorowani przez 16 tygodni po zakończeniu leczenia, w okresie obserwacji kontrolnej przedstawionym na Schemacie 1. Uczestnicy, którzy przedwcześnie zakończyli leczenie, również byli poddani obserwacji kontrolnej.

Parametry życiowe uczestników (ciśnienie krwi, tętno, puls i temperatura) sprawdzano co 4 tygodnie. Badania EKG i pobieranie krwi wykonywano co 12 tygodni. Badacze podczas każdej wizyty pytali uczestników, jak się czują.



Gdzie odbyło się to badanie?

Sponsor przeprowadził to badanie w 15 ośrodkach, w 4 krajach (Stany Zjednoczone, Węgry, Polska i Hiszpania).

Kiedy prowadzono to badanie?

Badanie rozpoczęło się 20 grudnia 2021 r. i zakończyło 20 listopada 2023 r.

Kto brał udział w badaniu?

W badaniu wzięli udział uczestnicy w wieku od 22 do 66 lat, cierpiący na umiarkowane lub ciężkie DM, którzy ukończyli badanie C0251002.

- Łącznie wzięło udział 4 mężczyzn.
- Łącznie wzięło udział 20 kobiet.
- Wszyscy uczestnicy byli w wieku od 22 do 66 lat.

Uczestnicy mieli być leczeni przez 48 tygodni, a ostatnią ocenę przeprowadzono w 52. tygodniu. Spośród 24 uczestników, którzy weszli w fazę leczenia, 21 ją ukończyło.

Spośród 3 uczestników, którzy nie ukończyli fazy leczenia, 1 uczestnik przerwał udział ze względu na nieskuteczność leku, a 2 uczestników wycofało się z własnego wyboru.

Spośród 22 uczestników, którzy weszli w fazę obserwacji kontrolnej, 1 uczestnik zdecydował się na przerwanie leczenia z własnej woli.

Jak długo trwało badanie?

Uczestnicy badania brali udział w badaniu przez 68 tygodni. Całe badanie trwało około 23 miesięcy.

Po zakończeniu badania w listopadzie 2023 r. Sponsor rozpoczął analizę zebranych informacji. Następnie Sponsor sporządził raport wyników. To jest podsumowanie tego raportu.

Jakie były wyniki badania?

Czy u uczestników długotrwale przyjmujących dazukibart zaobserwowano nieprawidłowości w parametrach życiowych, wynikach badań laboratoryjnych lub EKG?

U ilu uczestników zaobserwowano zmiany w parametrach życiowych (tętno i ciśnienie krwi) mające znaczenie kliniczne?

U żadnego z uczestników nie zaobserwowano zmian w parametrach życiowych mających znaczenie kliniczne. U jednego uczestnika stwierdzono podwyższone ciśnienie krwi, a u drugiego niskie. Żadne z nich nie miało znaczenia klinicznego i nie było związane z leczeniem.

U ilu uczestników nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych okazały się istotne klinicznie?

W okresie leczenia zgłoszono łącznie 5 nieprawidłowych wyników badań laboratoryjnych. U jednego uczestnika stwierdzono zmniejszenie stężenia potasu we krwi, u jednego uczestnika stwierdzono białko w moczu, u jednego uczestnika stwierdzono niską liczbę krwinek czerwonych, u jednego uczestnika stwierdzono niski poziom sodu we krwi, a u jednego uczestnika stwierdzono zmniejszenie szacowanego współczynnika przesączania kłębuszkowego (eGFR), co oznacza, że nerki gorzej filtrowały produkty przemiany materii. Wszystkie nieprawidłowości w wynikach badań laboratoryjnych uznano za niezwiązane z badanym lekiem i miały one nasilenie od łagodnego do umiarkowanego.

Na podstawie tych wyników badacze uznali, że dazukibart jest ogólnie bezpieczny i dobrze tolerowany.

U ilu uczestników nieprawidłowe wyniki EKG okazały się istotne klinicznie?

U żadnego z uczestników nie zaobserwowano zmian w EKG mających znaczenie kliniczne.

Nie oznacza to, że wszyscy uczestnicy tego badania mieli takie wyniki. To jest podsumowanie tylko niektórych głównych wyników tego badania. Inne badania mogą dostarczyć innych wyników.

Jakie problemy zdrowotne mieli uczestnicy w trakcie badania?

Badacze odnotowali wszelkie problemy zdrowotne uczestników podczas badania. Uczestnicy mogli mieć problemy zdrowotne z przyczyn niezwiązanych z badaniem (np. spowodowane chorobą podstawową lub losowe). Problemy zdrowotne mogły być również spowodowane leczeniem w ramach badania lub przyjmowaniem innego leku przez uczestnika. Czasami przyczyna problemu zdrowotnego jest nieznana. Porównując problemy zdrowotne w wielu grupach badanych w wielu badaniach, lekarze próbują zrozumieć, jaki wpływ może mieć badany lek na uczestnika.

Dwudziestu z 24 (83,3%) uczestników badania miało co najmniej 1 problem zdrowotny w trakcie 68-tygodniowego badania. Żaden z uczestników nie przerwał udziału w badaniu z powodu problemów zdrowotnych. Poniżej opisano najczęstsze problemy zdrowotne – zgłaszane przez ponad 5% uczestników.

Poniżej przedstawiono instrukcje dotyczące odczytywania informacji z Tabeli 1.

Instrukcje dotyczące zrozumienia zawartości Tabeli 1.

- W kolumnie **1.** w Tabeli 1 wymieniono najczęstsze problemy zdrowotne zgłaszane w trakcie badania. Wymienione są wszystkie problemy zdrowotne zgłoszone przez ponad 5% uczestników.
- Kolumna **2.** przedstawia, ilu spośród 24 uczestników przyjmujących badany lek zgłosiło każdy problem zdrowotny. Obok tej liczby znajduje się odsetek 24 uczestników przyjmujących badany lek, którzy zgłosili problem zdrowotny.
- Korzystając z tych instrukcji, można zauważyć, że 2 ze 24 (8,3%) uczestników przyjmujących badany lek miało niską liczbę krwinek czerwonych.

Tabela 1. Problemy zdrowotne zgłoszone przez ponad 5% uczestników badania

Problem zdrowotny	Dazukibart (24 uczestników)
Niska liczba krwinek czerwonych	2 z 24 uczestników (8,3%)
Ból brzucha	2 z 24 uczestników (8,3%)

Tabela 1. Problemy zdrowotne zgłoszone przez ponad 5% uczestników badania

Problem zdrowotny	Dazukibart (24 uczestników)
Zapalenie oskrzeli(bronchit)	2 z 24 uczestników (8,3%)
COVID-19	6 z 24 uczestników (25,0%)
Obrzęk tkanek w zatokach przynosowych (zapalenie zatok)	2 z 24 uczestników (8,3%)
Infekcja górnych dróg oddechowych	2 z 24 uczestników (8,3%)
Infekcja dróg moczowych	3 z 24 uczestników (12,5%)
Ból pleców	2 z 24 uczestników (8,3%)
Ból ręki lub nogi	2 z 24 uczestników (8,3%)
Ból głowy	2 z 24 uczestników (8,3%)
Kaszel	2 z 24 uczestników (8,3%)
Swędzące, czerwone grudki/pręgi na skórze (pokrzywka)	2 z 24 uczestników (8,3%)

Czy uczestnicy badania mieli jakieś poważne problemy zdrowotne?

Problem zdrowotny jest uważany za „poważny”, gdy zagraża życiu, wymaga opieki szpitalnej lub powoduje długotrwałe problemy zdrowotne.

Troje uczestników (12,5%) miało poważne problemy zdrowotne. U 1 uczestnika stwierdzono kamienie żółciowe, u 1 uczestnika wystąpił podwyższony poziom cukru i ketonów (substancji chemicznych uwalnianych przez organizm podczas rozkładu tłuszczów) we krwi, a 1 uczestnik złamał kończynę dolną. Żaden z uczestników nie miał półpaśca.

Żaden uczestnik nie zmarł podczas badania.

Gdzie mogę dowiedzieć się więcej o tym badaniu?

W razie pytań dotyczących wyników badania, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie lub z personelem ośrodka badawczego.

Więcej informacji na temat protokołu badania można znaleźć pod adresem:

www.pfizer.com/research/research_clinical_trials/trial_results Należy użyć numeru protokołu C0251008

Pełny raport naukowy z tego badania jest dostępny online pod adresem:

www.clinicaltrials.gov Należy użyć identyfikatora badania **NCT05192200**

www.clinicaltrialsregister.eu Należy użyć identyfikatora badania 2021-004787-10

Należy pamiętać, że badacze analizują wyniki wielu badań, aby dowiedzieć się, które leki mogą skutecznie działać i są bezpieczne dla pacjentów.

Jeśli uczestniczyli Państwo w tym badaniu, jeszcze raz **dziękujemy** za dobrowolny udział. Prowadzimy badania, aby odkrywać najlepsze metody pomocy pacjentom, a Państwo nam w tym pomogli!