

臨床試驗結果

一項瞭解 Tecfidera 和 Plegridy 用於復發緩解 型多發性硬化症兒童受 試者之安全性和療效的 試驗

受試藥物：Tecfidera (dimethyl fumarate, BG00012)

Plegridy (peginterferon beta-1a, BII017)

試驗計畫書編號：800MS301 (BLAST)

試驗日期：

開始日期：2019 年 4 月 16 日

完成日期：2022 年 7 月 21 日

謝謝您！

臨床試驗受試者在全球中隸屬於較大型的臨床研究社群。透過參與試驗，其可幫助研究人員回答重要的健康問題，並瞭解新的藥物。

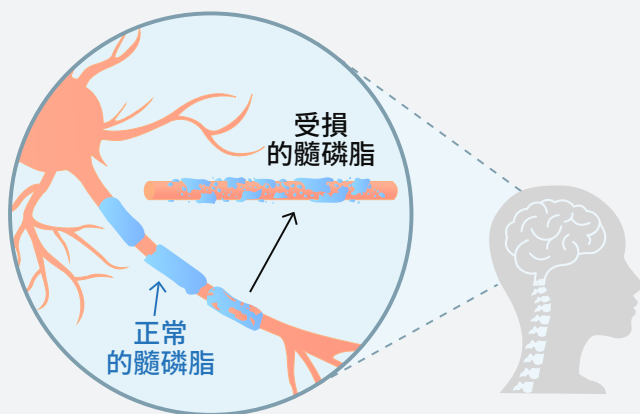
在本試驗中，研究人員更多瞭解用於復發緩解型多發性硬化症年輕患者中的 Tecfidera 和 Plegridy 藥物。Tecfidera 和 Plegridy 已獲准用於成人。

本試驗的試驗委託者 Biogen 感謝參與的人士，並認為分享本試驗的整體結果很重要。如果您有疑問，請與試驗研究中心的醫師或人員討論。

為何要進行本試驗？

研究人員正在尋找可能有助於特定類型多發性硬化症 (multiple sclerosis, MS) 兒童患者的藥物。

在 MS 中，免疫系統會攻擊腦部和脊髓中的神經。這會導致**髓鞘受損**，此為神經上的保護性覆蓋物。這使得腦部難以發揮功能和在全身傳遞訊息。MS 是一種進展型疾病。這代表其會緩慢惡化，且罕見情況下可能導致死亡。



MS 的症狀包括疲倦、麻木、刺痛和肌肉無力。症狀也包括視力、行走、思考和如廁方面的問題。在復發緩解型 MS (也稱為 RRMS) 患者中，這些症狀可能持續數小時或數天，然後消退，但之後會再度出現。復發是指開始出現新症狀或現有症狀惡化。當症狀消失時，稱為緩解。

在 RRMS 患者中，失能可能隨著每次復發而隨時間惡化。失能是指患者難以或不可能進行某些活動。

目前，沒有藥物可以治癒 RRMS 或修復受損的神經。然而，已有數種藥物顯示可減少復發次數。

目前的 RRMS 治療包括試圖減少免疫系統攻擊神經頻率的藥物。本試驗中研究人員研究的 2 種藥物為 Tecfidera 和 Plegridy。Tecfidera 也稱為 dimethyl fumarate 或 DMF。Plegridy 也稱為 peginterferon beta-1a。兩者均獲准用於治療成人的 RRMS。

然而，仍需要為較年輕的患者找出新治療。因此，研究人員希望更瞭解 Tecfidera 和 Plegridy 使用於 10 至 17 歲 RRMS 受試者的資訊。

研究人員希望可以回答的主要問題為：

- 開始試驗治療後，會在多久後首次發生 MS 復發？
- 受試者曾發生哪些可能的不良反應？

不良反應是試驗醫師通報可能由試驗藥物引起的醫療問題。這可能在臨床試驗期間或試驗結束後的一段特定時間內發生。

誰參與了本試驗？

本試驗納入 11 位受試者，包括 3 位男孩和 8 位女孩。



(27%) 3 位男孩



(73%) 8 位女孩

所有受試者均為 13 至 17 歲。

本試驗在愛沙尼亞、
約旦、臺灣、突尼西亞
和土耳其的 6 個試驗中
心進行。



受試者如果符合下列條件，便能夠參與
本試驗：

- 年齡介於 10 至 17 歲之間
- 經診斷患有 RRMS
- 加入試驗前發生復發和／或腦部
有活動性發炎區域

受試者如果符合下列條件，便無法參
與本試驗：

- 患有其他形式的 MS 或與 MS
類似的病症
- 在接受試驗藥物前 1 個月發生復發，
或持續發生復發
- 正在使用可能干擾試驗的特定
藥物

有關誰可以參與本試驗的更多資訊，請參閱[本摘要最後一頁所列的網站](#)。

受試者接受了哪些試驗藥物？

研究人員研究了下列藥物：

- Tecfidera，240 毫克 (milligram, mg)，以口服膠囊方式每天給予兩次。
- Plegridy，125 微克 (microgram, µg)，以皮下注射方式每 2 週給予一次。
- 安慰劑，以口服膠囊或皮下注射方式給藥。



安慰劑外觀與試驗藥物相似，但不含真的藥物。研究人員使用安慰劑，以更瞭解群組間的差異是否因試驗藥物引起。

試驗期間會發生哪些事？

本試驗如何進行？

本試驗為：

第3期：這通常是在將新藥送交政府機關核准用於臨床試驗外之前的最後一個臨床試驗階段。

雙盲：本試驗為雙盲設計。這代表研究人員和受試者均不知道受試者接受的是 Tecfidera、Plegridy 或安慰劑。

隨機分配試驗：本試驗為隨機分配。這代表研究人員使用電腦程式，來隨機選擇每位受試者接受的藥物。這有助於確保公平地選擇組別。

在試驗開始時，所有受試者都曾進行篩選就診。此次就診包括身體檢查、心臟檢測、血液和尿液檢測，以及其他檢查其 RRMS 症狀的檢測。參受試者或其照顧者也回答了有關其病史的問題。

篩選後，共將 11 位受試者隨機分配至 3 個組別的其中 1 組。



Tecfidera 組的受試者：

- 在最初 7 天內接受了 Tecfidera 120 mg，每天兩次。
- 之後，其在治療期的剩餘時間接受了 Tecfidera 240 mg，每天兩次。
- 其也每 2 週皮下注射一次外觀與 Plegridy 相似的安慰劑。



Plegridy 組的受試者：

- 在治療第 1 天接受 Plegridy 63 µg。
- 接著，其在 2 週後接受了 Plegridy 96 µg。
- 之後，其在治療期的剩餘時間接受了 Plegridy 125 µg，每 2 週一次。
- 其也每天服用兩次外觀與 Tecfidera 相似的安慰劑膠囊。



安慰劑組的受試者：

- 每天服用兩次外觀與 Tecfidera 相似的安慰劑膠囊。
- 其也每 2 週皮下注射一次外觀與 Plegridy 相似的安慰劑。

受試者預計持續接受試驗藥物最長約 2 年。

受試者在全部試驗期間定期前往診間就診。這些就診在治療的最初 3 個月內每個月進行一次。之後，其每 3 個月前往診間就診一次。在這些就診期間，受試者曾接受檢測，以評估其 MS 症狀和整體健康狀態。其也接受了額外的身體檢查，以及血液和尿液檢測。受試者在停止治療後 1 個月進行了最終就診。

研究人員也每 3 個月打電話給受試者一次，以確認其健康狀況。在診間就診和電話聯絡期間，曾為受試者檢查不良事件。不良事件是不一定由試驗藥物引起的醫療問題。

如果受試者發生復發或其疾病惡化，則有 2 個選項。試驗醫師可能會改變其治療或將其退出試驗。

下圖顯示試驗執行方式。



試驗結果為何？

當試驗結束時，Biogen 建立了一份結果報告。這是該報告的摘要。本結果摘要是針對 11 位接受 Tecfidera、Plegridy 或安慰劑的受試者提出。每位受試者的個別結果可能不同，且未提供於本摘要中。

研究人員希望納入超過 200 位受試者。然而，僅有 11 位受試者可參與試驗。因此，本試驗提前結束。

以下結果僅來自本試驗。其他試驗的結果可能不同。如果您有疑問，請詢問試驗醫師或試驗研究中心人員。

開始試驗治療後，會在多久後首次發生 MS 復發？

這是本試驗的主要指標。主要指標是研究人員想要回答的主要問題。為了回答此問題，研究人員記錄了受試者發生的任何復發。

本試驗未納入足夠的受試者。因此，研究人員無法針對首次發生 MS 復發所需的時間做出任何結論。

試驗期間發生了哪些可能的不良反應？

本節彙整了受試者在試驗期間通報的不良反應。當正在研究新藥時，研究人員會追蹤受試者在試驗期間發生的所有不良反應。並非每個人都會發生相同的不良反應。

不良反應是試驗醫師通報與試驗藥物相關的醫療問題。不良反應在導致死亡、危及生命、造成持續問題或需要醫院照護時，被視為嚴重反應。

試驗醫師會判定不良反應是否與試驗藥物有關。當試驗醫師做出此項決定時，並不知道受試者是接受試驗藥物或安慰劑。這很重要，以便試驗醫師在做出有關試驗藥物的決定時不受影響。

需要許多試驗來判定不良反應是否與試驗藥物或安慰劑真正相關。

本試驗期間有多少受試者發生不良反應？

下表顯示本試驗期間發生不良反應的受試者人數。

不良反應摘要			
	Tecfidera (2 位受試者)	Plegridy (6 位受試者)	安慰劑 (3 位受試者)
有多少受試者發生不良反應？	50% (1)	33% (2)	33% (1)

本試驗沒有受試者發生嚴重不良反應。
沒有受試者因為不良反應而停用試驗藥物。
沒有受試者在本試驗期間死亡。

本試驗期間曾發生哪些常見不良反應？

在試驗期間，共有 **36% 的受試者** 發生不良反應。這發生於 **11 位受試者** 中的 **4 位**。其中一位受試者曾發生超過 1 例不良反應。

下表顯示所發生的不良反應。

不良反應列表			
	Tecfidera (2 位受試者)	Plegridy (6 位受試者)	安慰劑 (3 位受試者)
感覺寒冷	0	17% (1)	0
注射部位瘀血	0	17% (1)	0
注射部位出現粉紅色或紅色斑塊	0	17% (1)	0
胃腸疾病	0	0	33% (1)
皮膚上出現粉紅色或紅色斑塊	50% (1)	0	0

本試驗如何幫助患者和研究人員？

研究人員會研究許多試驗的結果，以決定哪種治療對患者效果最好且最安全。本試驗幫助研究人員更瞭解 Tecfidera 和 Plegridy 使用於 RRMS 年輕患者的安全性。

本試驗的受試者人數不足以讓研究人員回答其主要問題。整體而言，本試驗未發現新的安全性疑慮。

請務必瞭解，本摘要的結果僅來自本試驗。其他試驗的結果可能不同。目前正在進行有關 Tecfidera 和 Plegridy 用於兒童參受試者的其他試驗。

我可在何處得知更多有關本試驗的資訊？

您可在下列網站找到更多關於本試驗的資訊：

美國臨床試驗資料庫
(US Clinical Study Database)

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03870763>



歐盟 (European Union, EU)
臨床試驗登錄庫

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2018-000516-22>



正式試驗標題：一項隨機分配、雙盲、雙模擬、安慰劑對照、三組、平行分組試驗，於 10 歲至 17 歲兒童受試者中評估 BG00012 及 BIIB017 對於治療復發緩解型多發性硬化症之療效及安全性

如果您對 Tecfidera、Plegridy 或本試驗的結果有疑問，請與試驗中心的醫師或人員討論。

此處提供的結果來自單一試驗。若未事先諮詢醫師，您不應依據這些結果改變自己的療法。

本試驗的試驗委託者 Biogen 總部位於麻州劍橋（美國）。

謝謝您！



Biogen.

225 Binney Street
Cambridge, MA 02142, USA (美國)
ClinicalTrials@Biogen.com