

KLIINILISE UURINGU TULEMUSED

Uuring, mis käsitleb Tecfidera ja Plegridy ohutust ning mõju lastel, kellel on retsidiivide ja remissioonidega hulgiskleroos

Uuritavad ravimid: Tecfidera (dimetüülfumaraat, BG00012)

Plegridy (beeta-1a-peginterferoon, BII017)

Uuringuplaani number: 800MS301 (BLAST)

Uuringu kuupäevad:

Alguskuupäev: 16. aprill 2019

Lõppkuupäev: 21. juuli 2022

Aitäh teile!

Kliinilises uuringus osalejad kuuluvad suurde üleilmsesse kliiniliste uuringute kogukonda. Uuringus osaledes aitavad nad teadlastel vastata olulistele tervishoiuküsimustele ja õppida tundma uusi ravimeid.

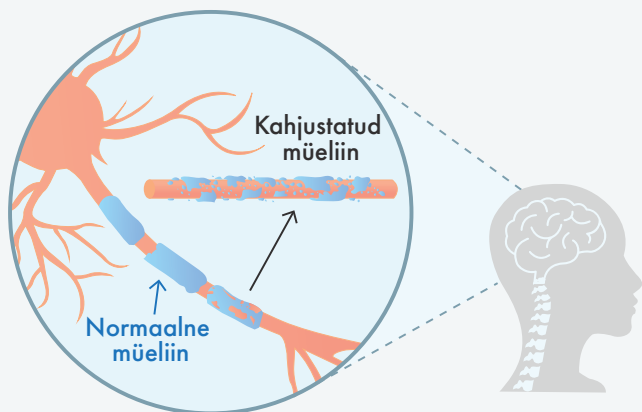
Selles uuringus said teadlased rohkem teada ravimite Tecfidera ja Plegridy kohta retsidiivide ja remissioonidega hulgiskleroosiga noortel patsientidel. Tecfidera ja Plegridy on juba saanud müügiloo kasutamiseks täiskasvanutel.

Selle uuringu sponsor Biogen tänab osalejaid ja leiab, et uuringu üldtulemuste jagamine on tähtis. Küsimuste korral rääkige uuringukeskuse arsti või töötajatega.

Miks see uuring läbi viidi?

Teadlased otsisid ravimeid, mis võivad aidata teatud tüüpi hulgiskleroosiga (sclerosis multiplex, edaspidi SM) lapsi.

SM-i puhul ründab immuunsüsteem pea- ja seljaaju närve. See kahjustab **müeliini**, närvide kaitsekihti. See raskendab aju toimimist ja impulsside kehas laiali saatmist. SM on progresseeruv haigus. See tähendab, et haigus süveneb tasapisi ja harvadel juhtudel võib põhjustada surma.



SM-i sümptomiteks on väsimus, tuimus, nahakihelus ja lihasnõrkus. Sümptomiteks on ka nägemis-, kõndimis-, mõtlemis- ja tualeti kasutamise häired. Inimestel, kellel on **retsidiivide ja remissioonidega SM**, tuntud ka kui **RRSM**, võivad need sümptomid kesta paar tundi või päeva, seejärel kaduda ja hiljem tagasi tulla. Ägenemine on see, kui tekivad uued sümptomid või olemasolevad sümptomid süvenevad. Kui sümptomid kaovad, nimetatakse seda **remissiooniks**.

RRSM-i korral võib puue iga retsidiiviga aja jooksul halveneda. Puue on see, kui inimestel on raske või võimatu teatud tegevusi teha.

Praegu ei ole ravimeid RRSM-i raviks ega kahjustatud närvide parandamiseks. Siiski on näidatud, et mitmed ravimid vähendavad retsidiivide arvu.

RRSM-i praegused ravimeetodid hõlmavad ravimeid, millega püütakse vähendada immuunsüsteemi poolt närvirakkude ründamise sagedust. Kaks ravimit, mida teadlased selles uuringus uurisid, on **Tecfidera ja Plegridy**. Tecfidera on tuntud ka kui dimetüülfumaraat või DMF. Plegridy on tuntud ka kui beeta-1a-peginterferoon. Mõlemad on saanud müügiloo RRSM-i raviks täiskasvanutel.

Siiski on vaja leida uusi ravimeetodeid noorematele patsientidele. Seetõttu soovisid teadlased rohkem teada saada Tecfidera ja Plegridy kohta RRSM-iga uuritavatel vanuses 10 kuni 17 aastat.

Peamised küsimused, millele teadlased vastuseid otsisid, olid järgmised:

- Kui palju aega kulus pärast uuringuravi alustamist aega esimese SM-i retsidiivi tekkeni?
- Millised võimalikud kõrvaltoimed osalejatel esinesid?

Kõrvaltoime on meditsiiniline probleem, mille puhul uuringuarstid teatasid, et see võib olla põhjustatud uuringuravimistest. See võib juhtuda kliinilise uuringu ajal või teatud aja jooksul pärast uuringu lõppu.

Kes uuringus osalesid?

Uuringus osales 11 inimest, kellest 3 olid poisid ja 8 olid tüdrukud.



(27%) 3 poisid



(73%) 8 tüdrukut

Kõik osalejad olid vanuses 13 kuni 17 aastat.

Uuring viidi läbi kuues uuringukeskuses Eestis, Jordaanias, Taiwanis, Tuneesias ja Türgis.



Osalejad said selles uuringus osaleda, kui:



Nad olid 10–17-aastased



Neil oli diagnoositud RRSM



Enne uuringuga liitumist esines neil ajus aktiivse põletiku retsidiive ja/või piirkondi

Osalejad ei saanud uuringus osaleda, kui:



Neil esines teisi SM-i vorme või seisundeid, mis nägid välja nagu SM



Neil oli retsidiiv 1 kuu enne uuringuravimite võtmist või käimasolev retsidiiv



Nad võtsid teatud ravimeid, mis võivad uurimist segada

Lisateavet selle kohta, kes said selles uuringus osaleda, leiate selle kokkuvõtte [viimasel leheküljel loetletud veebilehtedelt](#).

Milliseid uuringuravimeid osalejad said?

Teadlased uurisid järgmisi ravimeid:

- **Tecfidera, 240 milligrammi (mg)**, mida manustatakse kaks korda ööpäevas suukaudsete kapslitena.
- **Plegridy, 125 mikrogrammi (µg)**, mida manustatakse üks kord iga 2 nädala järel nahaaluse süstena.
- **Platseebo**, mida manustatakse kapslitena suu kaudu või süstidena naha alla.



Platseebo näeb välja nagu uuringuravim, kuid ei sisalda päris ravimit. Uurijad kasutasid platseebot, et paremini mõista, kas rühmade erinevused olid tingitud uuringuravimitest.

Mis uuringu ajal toimus?

Kuidas uuring läbi viidi?

See uuring oli:

III faasi uuring: See on tavaliselt kliiniliste uuringute viimane faas enne uue ravimi müügilootluse esitamist valitsusasutustele väljaspool kliinilisi uuringuid kasutamiseks.

Topeltpime: Uuring oli topeltpime. See tähendab, et ei teadlased ega osalejad ei teadnud, kas osalejad said Tecfiderat, Plegridyt või platseebot.

Juhuslikustatud uuring: Selles uuringus kasutati juhuslikustamist. See tähendab, et teadlased kasutasid arvutiprogrammi, et juhuslikult valida igale osalejale antav ravim. See aitas tagada, et rühmad valitakse õiglaselt.

Uuringu alguses käisid kõik osalejad sõelumisuuringu visiidil. See visiit hõlmas arstlikku läbivaatust, südameuuringuid, vere- ja uriinianalüüse ning muid analüüse RRSM-i sümptomite kontrollimiseks. Osalejad või nende hooldajad vastasid ka küsimustele haigusloo kohta.

Pärast sõelumist jagati 11 osalejat juhuslikkuse alusel ühte kolmest rühmast.



Tecfidera rühmas osalejad:

- Said 120 mg Tecfiderat kaks korda päevas esimese 7 ööpäeva jooksul.
- Seejärel said nad ülejäänud raviperioodi jooksul kaks korda päevas 240 mg Tecfiderat.
- Nad said ka üks kord iga 2 nädala järel naha alla platseebo süsti, mis nägi välja nagu Plegridy.



Osalejad Plegridy rühmas:

- Said 63 µg Plegridy't 1. ravipäeval.
- Seejärel said nad 2 nädalat hiljem 96 µg Plegridy't.
- Seejärel said nad ülejäänud raviperioodi jooksul 125 µg Plegridy't iga 2 nädala järel.
- Nad said ka kaks korda ööpäevas platseebo kapsleid, mis nägid välja nagu Tecfidera.



Platseeborühmas osalejad:

- Said kaks korda ööpäevas platseebo kapsleid, mis nägid välja nagu Tecfidera.
- Nad said ka üks kord iga 2 nädala järel naha alla platseebo süsti, mis nägi välja nagu Plegridy.

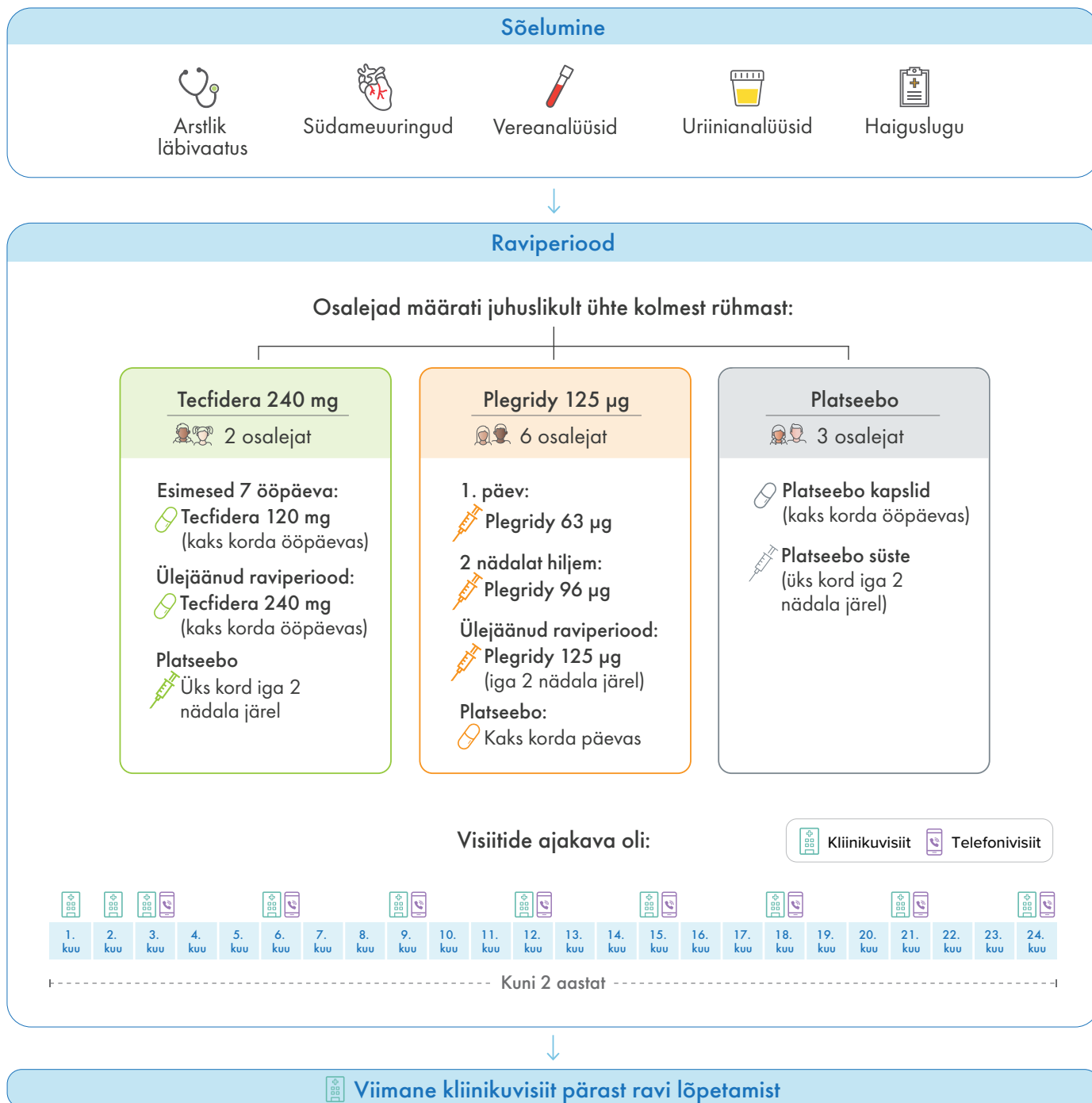
Osalejatel eeldati, et nad jätkavad uuringuravimite võtmist kuni ligikaudu 2 aastat.

Osalejad külastasid kliinikut regulaarselt kogu uuringu vältel. Need visiidid toimusid ravi esimese 3 kuu jooksul kord kuus. Seejärel külastasid nad kliinikut üks kord iga 3 kuu järel. Nende visiitide käigus tehti osalejatele uuringuid, et hinnata nende SM-i sümptomeid ja üldist heaolu. Neile tehti ka täiendavad arstlikud läbivaatused ning vere- ja uriinianalüüsid. Osalejatel oli viimane visiit 1 kuu pärast ravi lõpetamist.

Uurijad helistasid osalejatele ka telefoni teel üks kord iga 3 kuu tagant, et kontrollida nende tervist. Kliinikuvisiitide ja telefonikõnede ajal küsitleti osalejaid kõrvaltoimete suhtes. Kõrvaltoimed on meditsiinilised probleemid, mis võivad olla või mitte olla põhjustatud uuringuravimitest.

Kui osalejal oli retsidiiv ehk haigus süvenes, oli kaks võimalust. Uuringuarstid võisid määratud ravi muuta või osaleja uuringust eemaldada.

Alltoodud joonis näitab, kuidas uuring läbi viidi.



Millised olid uuringu tulemused?

Uuringu lõppedes koostas ettevõtte Biogen tulemuste aruande. See on selle aruande kokkuvõte. Tulemuste kokkuvõte on esitatud 11 osaleja kohta, kes said Tecfidera't, Plegridy't või platseebot. Iga osaleja konkreetset tulemusi võivad olla erinevad ega ole selles kokkuvõttes esitatud.

Uurijad soovisid värvata üle 200 osaleja. Uuringus osales aga vaid 11 isikut. Selle tulemusena lõpetati uuring varakult.

Alltoodud tulemused pärinevad ainult sellest uuringust. Teistel uuringutel võivad olla erinevad tulemused. Kui teil on küsimusi, esitage need oma uuringuarstile või uuringukeskuse töötajatele.

Kui palju aega kulus pärast uuringuravi alustamist aega esimese SM-i retsidiivi tekkeni?

See oli uuringu esmane tulemusnäitaja. Esmane tulemusnäitaja on peamine küsimus, millele teadlased vastust otsisid. Sellele küsimusele vastamiseks dokumenteerisid teadlased kõik osalejate retsidiivid.

Uuringusse ei kaasatud piisavalt osalejaid. Seetõttu ei suutnud teadlased teha mingeid järeldusi selle kohta, kui palju aega võib kuluda esimese SM-i retsidiivi tekkeks.

Millised võimalikud kõrvaltoimed uuringu ajal tekkisid?

See jaotis on kokkuvõte kõrvaltoimetest, millest osalejad uuringu ajal teatasid. Kui uuritakse uusi ravimeid, jälgivad teadlased kõiki uuringus osalejatel uuringu ajal esinenud kõrvaltoimeid. Kõigil ei esine samad kõrvaltoimed.

Kõrvaltoime on meditsiiniline probleem, mille puhul uuringuarstid teatasid, et see võib olla põhjustatud uuringuravimistest. **Kõrvaltoimet peetakse tõsiseks**, kui see põhjustab surma, on eluohtlik, põhjustab püsivaid tervisehäireid või vajab haiglaravi.

Uuringuarstid otsustavad, kas kõrvaltoime on uuringuravimiga seotud. Selle otsuse tegemisel ei tea uuringuarstid, kas osaleja saab uuringuravimit või platseebot. See on oluline selleks, et uuringuarste uuringuravimite kohta otsuste tegemisel ei mõjutataks.

Selleks, et teha kindlaks, kas kõrvaltoimed on tõepoolest seotud uuringuravimi või platseeboga, on vaja teha palju uuringuid.

Kui mitmel osalejal esines selle uuringu ajal kõrvaltoimeid?

Allolev tabel näitab, kui mitmel osalejal esines selle uuringu ajal kõrvaltoimeid.

Kõrvaltoimete kokkuvõte			
	Tecfidera (2 osalejat)	Plegridy (6 osalejat)	Platseebo (3 osalejat)
Kui mitmel osalejal esines kõrvaltoimeid?	50% (1)	33% (2)	33% (1)

Selles uuringus osalejatel ei esinenud tõsiseid kõrvaltoimeid.
Ükski osaleja ei lõpetanud uuringuravimite võtmist kõrvaltoimete tõttu.
Selle uuringu käigus ei surnud ühtki osalejat.

Millised sagedased kõrvaltoimed selle uuringu ajal tekkisid?

Kokku **36% osalejatest** tekkis uuringu ajal kõrvaltoime. Teisisõnu, kõrvaltoimed tekkisid **4 osalejal 11-st**. Ühel osalejal oli rohkem kui üks kõrvaltoime.

Allolevas tabelis on toodud tekkinud kõrvaltoimed.

Kõrvaltoimete loetelu			
	Tecfidera (2 osalejat)	Plegridy (6 osalejat)	Platseebo (3 osalejat)
Külmatunne	0	17% (1)	0
Verevalum süstekohal	0	17% (1)	0
Roosad või punased laigud süstekohal	0	17% (1)	0
Mao ja soolestiku häired	0	0	33% (1)
Roosad või punased laigud nahal	50% (1)	0	0

Kuidas see uuring patsiente ja teadlasi aitas?

Teadlased vaatavad paljude uuringute tulemusi, et otsustada, millised ravimeetodid toimivad kõige paremini ja on patsientidele kõige ohutumad. See uuring aitas teadlastel rohkem teada saada Tecfidera ja Plegridy ohutusest RRSM-iga noortel.

Selles uuringus ei olnud piisavalt osalejaid, et teadlased saaksid vastused põhiküsimusele. Üldiselt ei leitud selles uuringus uusi ohutusprobleeme.

Oluline on teada, et selles kokkuvõttes toodud tulemused pärinevad ainult sellest uuringust. Teistel uuringutel võivad olla erinevad tulemused. Praegu on käimas teisi Tecfidera ja Plegridy uuringuid lastel.

Kust leida rohkem teavet uuringu kohta?

Lisateavet uuringu kohta leiate veebis järgmistel veebilehtedel:

USA kliiniliste uuringute andmebaas

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



EL-i kliiniliste uuringute register

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



Ametlik uuringu pealkiri: Juhuslikustatud topeltpime, topeltimiteeritud, platseebokontrolliga 3-haruline paralleelrühmaga uuring lastel vanuses 10 kuni 17 aastat, et hinnata BG00012 ja BIIB017 tõhusust ja ohutust retsidiivide ja remissioonidega kulgeva hulgiskleroosi ravis

Kui teil on Tecfidera, Plegridy või selle uuringu tulemuste kohta küsimusi, rääkige uuringukeskuse arsti või töötajatega.

Siin on esitatud ühe uuringu tulemused. Nende tulemuste põhjal ei tohi te oma ravi muuta ilma arstiga eelnevalt nõu pidamata.

Selle uuringu sponsori Biogen peakontor asub USA-s Massachusettsi osariigis Cambridge'is.

Aitäh teile!



Biogen.

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