

RÉSULTATS DE L'ESSAI CLINIQUE

Étude visant à en savoir plus sur la sécurité d'emploi et les effets de Tecfidera et Plegridy chez des patients pédiatriques atteints de sclérose en plaques récurrente-rémittente

Produits étudiés : Tecfidera (fumarate de diméthyle, BG00012)
Plegridy (péginterféron bêta-1a, BIIB017)

Numéro du protocole : 800MS301 (BLAST)

Dates de l'étude :

Date de début : 16 avril 2019

Date de fin : 21 juillet 2022

Merci !

Les patients participant à une étude clinique appartiennent à une grande communauté de patients participant à la recherche clinique dans le monde. En participant à une étude, ils aident les chercheurs à répondre à des questions importantes en matière de santé et à en apprendre davantage sur de nouveaux traitements médicaux.

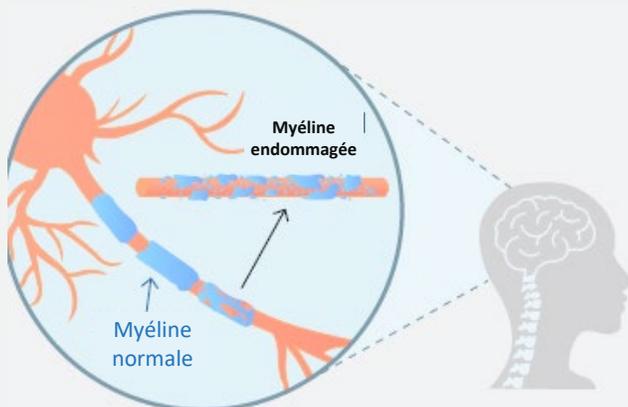
Dans cette étude, les chercheurs en ont appris davantage sur les produits Tecfidera et Plegridy chez les jeunes patients atteints de sclérose en plaques récurrente-rémittente. Tecfidera et Plegridy sont déjà approuvés pour une utilisation chez l'adulte.

Biogen, le promoteur de cette étude, remercie les personnes ayant participé et estime qu'il est important de partager les résultats globaux de cette étude. Si vous avez des questions, veuillez-vous adresser au médecin ou au personnel du centre de l'étude.

Pourquoi cette étude a-t-elle été réalisée ?

Les chercheurs étaient à la recherche de médicaments pouvant aider les patients pédiatriques atteints de certains types de **sclérose en plaques (SEP)**.

Dans la SEP, le système immunitaire attaque les nerfs dans le cerveau et la moelle épinière. Cela endommage la **myéline**, une gaine protectrice des nerfs. Cela rend difficile le fonctionnement du cerveau et l'envoi de messages dans tout l'organisme. La sclérose en plaques est une maladie évolutive. Cela signifie qu'elle s'aggrave lentement et, dans de rares cas, peut entraîner le décès.



Les symptômes de la SEP comprennent fatigue, engourdissement, picotements et faiblesse musculaire. Les symptômes comprennent également des problèmes de vision, de marche, de réflexion et d'utilisation des toilettes. Chez les personnes atteintes de **SEP récurrente-rémittente**, également appelée **SEP-RR**, ces symptômes peuvent durer quelques heures ou quelques jours, puis disparaître pour ensuite revenir plus tard. Les poussées surviennent lorsque de nouveaux symptômes apparaissent ou lorsque les symptômes existants s'aggravent. Lorsque les symptômes disparaissent, on parle de **rémission**.

Chez les personnes atteintes de SEP-RR, le handicap peut s'aggraver avec le temps à chaque poussée. On parle d'invalidité lorsque les personnes trouvent qu'il est difficile ou impossible de réaliser certaines activités.

Il n'existe actuellement aucun médicament pour guérir la SEP-RR ou réparer les nerfs endommagés. Toutefois, plusieurs médicaments se sont avérés réduire le nombre de rechutes.

Les traitements actuels de la SEP-RR incluent des médicaments qui empêchent le système immunitaire d'attaquer les nerfs aussi souvent. Les deux produits que les chercheurs ont étudiés dans cette étude sont **Tecfidera** et **Plegridy**. Tecfidera est également appelé fumarate de diméthyle ou DMF. Plegridy est également appelé péginterféron bêta-1a. Les deux sont approuvés pour traiter la SEP-RR chez l'adulte.

Cependant, il est nécessaire de trouver de nouveaux traitements pour les patients plus jeunes. Par conséquent, les chercheurs voulaient en apprendre davantage sur Tecfidera et Plegridy chez les patients atteints de SEP-RR âgés de 10 à 17 ans.

Les principales questions auxquelles les chercheurs souhaitent répondre étaient les suivantes :

- Après avoir commencé le traitement à l'étude, combien de temps a-t-il fallu pour que la première rechute de SEP se produise ?
- Quelles sont les réactions indésirables éventuelles que les patients pourraient présenter ?

Une **réaction indésirable** est un problème médical que les médecins de l'étude ont signalé comme étant potentiellement lié aux produits à l'étude. Cela peut se produire pendant une étude clinique ou dans un certain délai après la fin de l'étude.

Qui a participé à l'étude ?

L'étude a inclus 11 patients, dont **3 garçons** et **8 filles**.



(27 %) 3 garçons



(73 %) 8 filles

Tous les patients étaient âgés de **13 à 17 ans**.

L'étude a été menée dans **6 centres de recherche** en Estonie, en Jordanie, à Taïwan, en Tunisie et en Turquie.



Les patients **étaient en mesure de prendre part** à cette étude s'ils :



étaient âgés de 10 à 17 ans ;



avaient reçu un diagnostic de SEP-RR ;



avaient présenté des rechutes et/ou des zones d'inflammation active dans le cerveau avant l'inclusion dans l'étude.

Les patients **n'étaient pas en mesure de prendre part** à cette étude s'ils :



étaient atteints d'autres formes de SEP ou d'affections ressemblant à la SEP ;



avaient présenté une rechute 1 mois avant la prise des produits à l'étude ou s'ils présentaient une rechute en cours ;



prenaient certains médicaments qui pourraient interférer avec l'étude.

Pour plus d'informations sur les personnes susceptibles de participer à cette étude, veuillez consulter les sites Internet figurant [en dernière page de ce résumé](#).

Quels produits à l'étude les patients ont-ils reçus ?

Les chercheurs ont étudié les produits suivants :

- **Tecfidera, 240 milligrammes (mg)**, administré deux fois par jour sous forme de gélules à prendre par voie orale.
- **Plegridy, 125 microgrammes (µg)**, administré une fois toutes les 2 semaines sous forme d'injection sous la peau.
- **Placebo**, administré sous forme de gélules à prendre par voie orale ou d'injections sous la peau.



Un **placebo** a la même apparence que le produit à l'étude mais ne contient aucun médicament actif. Les chercheurs ont utilisé un placebo pour mieux comprendre si les différences entre les cohortes étaient dues aux produits à l'étude.

Que s'est-il passé pendant l'étude ?

Comment l'étude a-t-elle été menée ?

Cette étude était :

Une étude de phase 3 : il s'agit généralement de la dernière phase des études cliniques avant qu'un nouveau produit ne soit soumis aux autorités réglementaires pour approbation en vue d'une utilisation en dehors d'une étude clinique.

Une étude en double aveugle : l'étude était en double aveugle. Cela signifie que ni les chercheurs ni les patients ne savaient si les patients recevaient Tecfidera, Plegridy ou le placebo.

Une étude randomisée : cette étude a été randomisée. Cela signifie que les chercheurs ont utilisé un programme informatique pour déterminer au hasard le produit que chaque patient recevrait. Cela a permis de s'assurer que les cohortes avaient été choisies équitablement.

Au début de l'étude, tous les patients ont passé une visite de sélection. Cette visite comprenait un examen clinique, des examens cardiaques, des analyses de sang et d'urine, et d'autres examens pour vérifier leurs symptômes de SEP-RR. Les patients ou leurs soignants ont également répondu à des questions sur leurs antécédents médicaux.

Après la sélection, 11 patients au total ont été affectés de manière aléatoire à l'une des trois cohortes.

Les patients de la **cohorte Tecfidera** :

- ont reçu 120 mg de Tecfidera deux fois par jour pendant les 7 premiers jours ;
- ont ensuite reçu 240 mg de Tecfidera deux fois par jour pendant le reste de la période de traitement ;
- ont également reçu une injection de placebo sous la peau une fois toutes les 2 semaines, qui ressemblait à Plegridy.

Les patients de la **cohorte Plegridy** :

- ont reçu 63 µg de Plegridy le jour 1 du traitement ;
- ont ensuite reçu 96 µg de Plegridy 2 semaines plus tard ;
- ont reçu par la suite 125 µg de Plegridy toutes les 2 semaines pendant le reste de la période de traitement.
- Ils ont également reçu des gélules de placebo deux fois par jour qui ressemblaient à Tecfidera.

Les patients de la **cohorte placebo** :

- ont reçu des gélules de placebo deux fois par jour qui ressemblaient à Tecfidera ;
- ont également reçu une injection de placebo sous la peau une fois toutes les 2 semaines, qui ressemblait à Plegridy.

Les patients devaient continuer à prendre les produits à l'étude pendant une durée maximale d'environ 2 ans.

Les patients se sont rendus régulièrement au centre tout au long de l'étude. Ces visites ont eu lieu une fois par mois pendant les 3 premiers mois de traitement. Ensuite, ils se sont rendus au centre une fois tous les 3 mois. Lors de ces visites, les patients ont passé des examens pour évaluer leurs symptômes de SEP et leur bien-être général. Ils ont également fait l'objet d'examens cliniques et d'analyses de sang et d'urine supplémentaires. Les patients ont passé une dernière visite 1 mois après l'arrêt du traitement.

Les chercheurs ont également appelé les patients par téléphone une fois tous les 3 mois pour vérifier leur état de santé. Lors des visites au centre et des appels téléphoniques, les patients ont été examinés pour détecter d'éventuels événements indésirables. Les événements indésirables sont des problèmes médicaux pouvant être causés ou non par les produits à l'étude.

En cas de rechute ou de progression de sa maladie, deux options s'offraient au patient. Les médecins de l'étude pouvaient modifier leur traitement ou les retirer de l'étude.

Quels ont été les résultats de l'étude ?

À la fin de l'étude, Biogen a créé un rapport d'étude. Ce document est un résumé de ce rapport. Le résumé des résultats est présenté pour 11 patients ayant reçu Tecfidera, Plegridy ou le placebo. Les résultats individuels de chaque patient pourraient être différents et ne figurent pas dans ce résumé.

Les chercheurs voulaient inclure plus de 200 patients. Toutefois, seuls 11 patients ont pu participer à l'étude. Par conséquent, l'étude a été arrêtée prématurément.

Les résultats ci-dessous sont uniquement issus de cette étude. D'autres études peuvent montrer des résultats différents. Si vous avez des questions, veuillez-vous adresser au médecin de l'étude ou au personnel du centre de l'étude.

Après avoir commencé le traitement à l'étude, combien de temps a-t-il fallu pour que la première rechute de SEP se produise ?

Il s'agissait du critère d'évaluation principal de l'étude. Un critère d'évaluation principal est la principale question à laquelle les chercheurs voulaient répondre. Pour répondre à cette question, les chercheurs ont documenté les éventuelles rechutes que les patients ont présentées.

L'étude n'a pas inclus suffisamment de patients. Pour cette raison, les chercheurs n'ont pas été en mesure de tirer de conclusions quant au temps nécessaire pour que la première rechute de SEP se produise.

Quelles ont été les réactions indésirables qui sont survenues durant l'étude ?

Cette section est un résumé des réactions indésirables signalées par les patients pendant l'étude. Lorsque de nouveaux médicaments sont étudiés, les chercheurs suivent toutes les réactions indésirables que présentent les patients pendant l'étude. Tout le monde ne présente pas forcément les mêmes réactions indésirables.

Une **réaction indésirable** est un problème médical que les médecins de l'étude ont signalé comme étant lié au produit à l'étude. Une **réaction indésirable est considérée grave** si elle entraîne le décès, si elle engage le pronostic vital, si elle entraîne des problèmes qui persistent ou si elle nécessite une hospitalisation.

Les médecins de l'étude décident si une réaction indésirable est liée au produit à l'étude. Lorsqu'ils prennent cette décision, les médecins de l'étude ne savent pas si un patient reçoit les produits à l'étude ou le placebo. Cela est important afin que les médecins de l'étude ne soient pas influencés lors de la prise de décisions concernant les produits à l'étude.

De nombreuses études sont nécessaires pour déterminer si les réactions indésirables sont réellement liées aux produits à l'étude ou au placebo.

Combien de patients ont présenté des réactions indésirables pendant cette étude ?

Le tableau ci-dessous montre combien de patients ont présenté des réactions indésirables pendant cette étude.

Résumé des réactions indésirables			
	Tecfidera (2 patients)	Plegridy (6 patients)	Placebo (3 patients)
Combien de patients ont présenté des réactions indésirables ?	50 % (1)	33 % (2)	33 % (1)

Aucun patient de cette étude n'a présenté de réactions indésirables graves.

Aucun patient n'a cessé de prendre les produits à l'étude en raison de réactions indésirables.

Aucun patient n'est décédé au cours de cette étude.

Quelles réactions indésirables fréquentes sont survenues pendant cette étude ?

Au total, **36 % des patients** ont présenté une réaction indésirable pendant l'étude. Cela représentait **4 patients sur 11**. Un des patients a présenté plus d'une réaction indésirable.

Le tableau ci-dessous présente les réactions indésirables qui sont survenues.

Liste des réactions indésirables			
	Tecfidera (2 patients)	Plegridy (6 patients)	Placebo (3 patients)
Sensation de froid	0	17 % (1)	0
Ecchymoses au site d'injection	0	17 % (1)	0
Taches roses ou rouges au site d'injection	0	17 % (1)	0
Trouble de l'estomac et des intestins	0	0	33 % (1)
Taches roses ou rouges sur la peau	50 % (1)	0	0

En quoi cette étude a-t-elle aidé les patients et les chercheurs ?

Les chercheurs examinent les résultats de nombreuses études afin de décider quels sont les traitements les plus efficaces et les plus sûrs pour les patients. Cette étude a aidé les chercheurs à en savoir plus sur la sécurité d'emploi de Tecfidera et de Plegridy chez les jeunes personnes atteintes de SEP-RR.

Il n'y avait pas suffisamment de patients dans cette étude pour que les chercheurs puissent répondre à leur question principale. Dans l'ensemble, aucun nouveau problème de sécurité d'emploi n'a été découvert dans cette étude.

Il est important de savoir que les résultats de ce résumé proviennent uniquement de cette étude. D'autres études peuvent montrer des résultats différents. D'autres études évaluant Tecfidera et Plegridy chez des patients pédiatriques sont actuellement en cours.

Où puis-je en savoir plus sur cette étude ?

Vous trouvez de plus amples informations sur l'étude en ligne sur les sites Web suivants :

Base de données des études

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



Registre des essais cliniques de

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



Titre officiel de l'étude : Étude randomisée, en double aveugle, à double placebo, contrôlée par placebo, à 3 bras, en groupes parallèles, menée chez des patients pédiatriques âgés de 10 à 17 ans et visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi du BG00012 et du BIIB017 dans le traitement de la sclérose en plaques récurrente-rémittente

En cas de questions sur Tecfidera, Plegridy ou les résultats de cette étude, veuillez vous adresser au médecin de l'étude ou au personnel du centre de recherche de l'étude.

Les résultats présentés ici sont tirés d'une seule étude. Vous ne devez pas apporter de modifications à votre traitement sur la base de ces résultats sans consulter au préalable votre médecin.

Le siège de Biogen, le promoteur de cette étude, est à Cambridge, dans le Massachusetts (États-Unis).

Merci !



225 Binney Street
Cambridge, MA 02142 (États-Unis)
ClinicalTrials@Biogen.com