

Sponsor badania: Biogen

Lek badany: Fumaran dimetylu (BG00012, Tecfidera®)

IdentyfikatorClinicalTrials.gov: NCT02555215

Numer EudraCT: 2015-003282-29

Numer protokołu: 109MS311

Termin badania: od lutego 2016 r. do września 2018 r.

Skrócony tytuł badania: Badanie oceniające długoterminowe bezpieczeństwo stosowania fumaranu dimetylu u dzieci i młodzieży z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego

Dziękujemy!

Uczestnik badania klinicznego należy do dużej społeczności uczestników badań klinicznych z całego świata.

Biorąc udział w badaniu, uczestnicy pomagają badaczom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące zdrowia i ocenić potencjalne nowe terapie medyczne.

To badanie kliniczne pomogło badaczom zgromadzić informacje na temat długoterminowego bezpieczeństwa stosowania leku badanego, fumaranu dimetylu, u młodzieży z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego. Fumaran dimetylu określany jest też jako BG00012 i Tecfidera®. W tym streszczeniu fumaran dimetylu określany jest jako DMF.

Biogen, sponsor tego badania, jest wdzięczny wszystkim uczestnikom. Wierzimy, że przedstawienie ogólnych wyników badania jest ważne. W przypadku pytań proszę porozmawiać z lekarzem lub personelem w swoim ośrodku badawczym.

Jaki był cel tego badania naukowego?

Badacze szukają lepszej metody leczenia dzieci i młodzieży ze stwardnieniem rozsianym, znanym również jako SM. Choroba ta występuje, gdy układ odpornościowy danej osoby atakuje warstwę tłuszczową komórek, które pomagają zakrywać i chronić nerwy w organizmie. W przypadku uszkodzenia tej warstwy sygnały wysyłane między mózgiem a resztą organizmu są opóźnione albo blokowane. Osoby ze stwardnieniem rozsianym mają problemy ze wzrokiem, umiejętnościami związanymi z myśleniem i pamięcią, ruchami mięśni i koordynacją.

Pacjenci, biorący udział w tym badaniu to dzieci i młodzież chorujący na rzutowe postacie stwardnienia rozsianego. W tych postaciach stwardnienia rozsianego mogą powrócić wcześniejsze objawy lub mogą wystąpić nowe objawy po pozornym ustąpieniu choroby przez pewien czas.

Dla dorosłych pacjentów z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego istnieje kilka opcji leczenia, natomiast dla dzieci i młodzieży z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego jest dostępna tylko jedna zatwierdzona opcja leczenia.

Lek badany, DMF, może być stosowany w leczeniu rzutowych postaci stwardnienia rozsianego u dorosłych. Pacjenci uczestniczący w tym badaniu zakończyli udział w pierwszym badaniu oceniającym stosowanie DMF w leczeniu dzieci i młodzieży z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego. W tym badaniu badacze chcieli uzyskać informacje na temat bezpieczeństwa długoterminowego stosowania DMF u pacjentów kontynuujących przyjmowanie DMF.

Oto główne pytanie, na które chcieli uzyskać odpowiedź badacze:

- Jakie zdarzenia niepożądane wystąpiły u pacjentów? Zdarzenia niepożądane to problemy zdrowotne, które mogą, ale nie muszą być wywołane przez lek badany.

Co się działo w trakcie badania?

Przeprowadzenie tego badania zajęło ponad dwa lata. W badaniu wzięło udział 20 pacjentów w 12 ośrodkach badawczych w Belgii, Bułgarii, Czechach, Niemczech, Kuwejcie, Łotwie, Libanie, Polsce, Turcji i Stanach Zjednoczonych. Pacjentami w tym badaniu były dzieci i młodzież z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego. Pacjenci ci ukończyli wcześniej badanie obejmujące leczenie DMF. W momencie rozpoczęcia tego badania wiek pacjentów wynosił od 14 do 18 lat.

Po zakończeniu badania sponsor zweryfikował dane i sporządził sprawozdanie z wyników. Oto streszczenie tego sprawozdania.

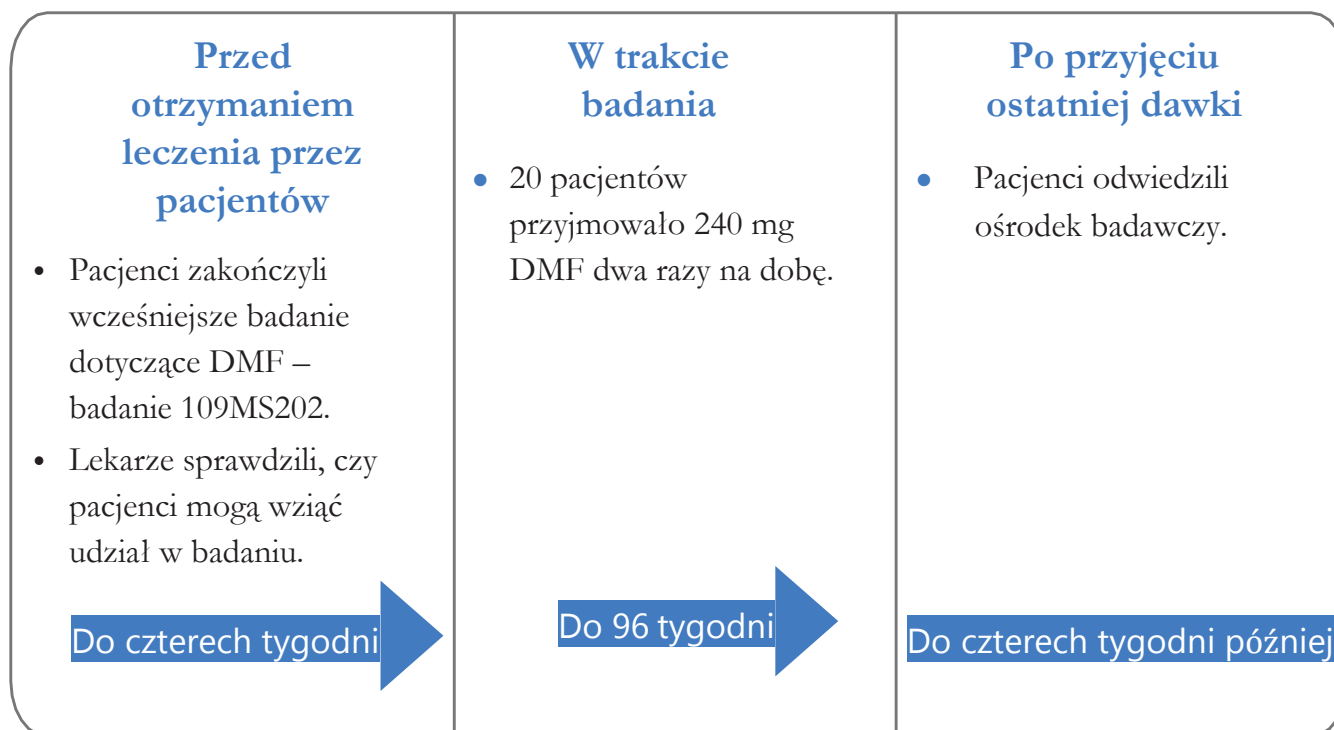
Badanie to było prowadzone „**metodą otwartej próby**”. Oznacza to, że pacjenci, lekarzeprowadzący badanie, personel prowadzący badanie oraz badacze wiedzieli, że każdy pacjent przyjmował DMF. W tym badaniu wszyscy pacjenci przyjmowali doustnie tabletki DMF. Dawki były odmierzane w miligramach, określanych również jako mg.

Zanim pacjenci otrzymali leczenie, odbyli wizytę w swoim ośrodku badawczym. Podczas tej wizyty lekarze zbadali każdego pacjenta, aby upewnić się, czy może on wziąć udział w badaniu. Ta wizyta stanowiła jednocześnie ostatnią wizytę we wcześniejszym badaniu DMF lub odbyła się ona w ciągu czterech tygodni przed rozpoczęciem tego badania.

W trakcie badania 20 pacjentów przyjmowało 240 mg DMF doustnie dwa razy na dobę. Pacjenci przyjmowali DMF przez okres do 96 tygodni.

W trakcie trwania badania lekarze pytali każdego pacjenta o samopoczucie i przyjmowane leki.

Cztery tygodnie **po przyjęciu ostatniej dawki** pacjenci odwiedzili ośrodek badawczy w celu odbycia wizyty kontrolnej. Poniższy schemat przedstawia sposób przeprowadzenia badania.



Jakie były wyniki badania?

Poniżej przedstawiono informacje, które uzyskali badacze podczas poszukiwania odpowiedzi na główne pytania. Poniżej znajduje się ogólne streszczenie wyników klinicznego i kluczowe pytania, jakie badacze zadawali podczas badania.

Jakie zdarzenia niepożądane wystąpiły u pacjentów?

Potrzebne jest przeprowadzenie wielu badań naukowych, aby ustalić, czy dany lek wywołuje problem medyczny zwany zdarzeniem niepożądanym. Zdarzenie niepożądane jest uznawane za ciężkie, kiedy skutkuje zgonem, zagraża życiu, powoduje długotrwale problemy lub wymaga leczenia szpitalnego. Głównym celem tego badania było uzyskanie informacji na temat jakichkolwiek zdarzeń niepożądanych występujących przy długoterminowym leczeniu. Podczas badań nad lekami lekarze śledzą wszystkie zdarzenia niepożądane występujące u pacjentów. Obejmuje to okres w trakcie badania i po jego zakończeniu. Nie u wszystkich one występują oraz mogą one, ale nie muszą, być spowodowane stosowaniem leku badanego.

W tym badaniu badacze uzyskali nowe informacje na temat długoterminowego bezpieczeństwa stosowania DMF u dzieci i młodzieży. Zdarzenia niepożądane występujące u pacjentów w trakcie tego badania były podobne do tych występujących w poprzednim badaniu dotyczącym DMF.

U ilu pacjentów w tym badaniu wystąpiły zdarzenia niepożądane?

W trakcie tego badania zdarzenia niepożądane wystąpiły u większości pacjentów. U niektórych pacjentów wystąpiły ciężkie zdarzenia niepożądane. Żaden z pacjentów nie zakończył udziału w badaniu z powodu zdarzeń niepożądanych.

W tabeli poniżej przedstawiono, u ilu pacjentów w trakcie tego badania wystąpiły zdarzenia niepożądane.

Zdarzenia niepożądane w trakcie tego badania	
	DMF Spośród 20 pacjentów (%)
U ilu pacjentów wystąpiły zdarzenia niepożądane?	18 (90%)
U ilu pacjentów wystąpiły ciężkie zdarzenia niepożądane?	2 (10%)
Ilu pacjentów zakończyło udział w badaniu z powodu zdarzeń niepożądanych?	0 (0%)

Jakie ciężkie zdarzenia niepożądane wystąpiły u pacjentów?

W trakcie tego badania ciężkie zdarzenia niepożądane wystąpiły u dwóch pacjentów. Te ciężkie zdarzenia niepożądane to:

- rzut stwardnienia rozsianego,
- ból żołądka.

Żaden z pacjentów nie zmarł w wyniku zdarzeń niepożądanych w trakcie tego badania.

Jakie zdarzenia niepożądane występowały najczęściej?

W trakcie tego badania najczęściej występującym zdarzeniem niepożądanym były uderzenia gorąca, w których dochodzi do zaczerwienienia skóry. Występowały one u 25% pacjentów w tym badaniu, czyli u 5 na 20 pacjentów.

W tabeli poniżej przedstawiono zdarzenia niepożądane, które wystąpiły u przynajmniej 15% pacjentów w tym badaniu. Inne zdarzenia niepożądane wystąpiły u mniejszej liczby pacjentów.

Najczęściej występujące zdarzenia niepożądane w trakcie tego badania

	DMF Spośród 20 pacjentów (%)
Uderzenia gorąca (w których dochodzi do zaczerwienienia skóry)	5 (25%)
Rzut stwardnienia rozsianego	4 (20%)
Kaszel	3 (15%)
Ból głowy	3 (15%)
Zakażenie górnych dróg oddechowych	3 (15%)
Skurcze menstruacyjne	3 (15%)
Ból żołądka	3 (15%)
Wirusowe zakażenie górnych dróg oddechowych	3 (15%)

Gdzie mogę uzyskać więcej informacji na temat badania?

Więcej informacji na temat badania można znaleźć na stronie internetowej www.clinicaltrials.gov. Po wejściu na stronę należy wpisać w polu wyszukiwania „NCT02555215” i kliknąć przycisk „Search” (Szukaj).

Więcej informacji można również znaleźć na stronie internetowej www.clinicaltrialsregister.eu. Po wejściu na stronę internetową kliknąć element „Home and Search” (Strona główna i wyszukiwanie), a następnie wpisać „2015-003282-29” w polu wyszukiwania i kliknąć przycisk „Search” (Szukaj).

W przypadku pytań dotyczących DMF lub wyników omawianego badania proszę porozmawiać z lekarzem lub personelem prowadzącym badanie.

Oficjalny tytuł badania: Wieloośrodkowe badanie kontynuacyjne mające na celu ocenę długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa stosowania BG00012 u pacjentów pediatrycznych z rzutowo-remisyjną postacią stwardnienia rozsianego

Siedziba Biogen, sponsora tego badania, znajduje się w Cambridge, w stanie Massachusetts (USA).

Zaprezentowane tutaj wyniki dotyczą jednego badania. Nie należy wprowadzać zmian w leczeniu na podstawie wspomnianych wyników bez uprzedniej konsultacji z lekarzem. Obecnie trwają dalsze badania nad stosowaniem DMF u dzieci i młodzieży z rzutowymi postaciami stwardnienia rozsianego.

Dziękujemy!



Biogen
225 Binney Street
Cambridge, MA 02142
clinicaltrials@biogen.com



Centrum Informacji i Badań Dotyczących Udziału w Badaniach Klinicznych (Center for Information & Study on Clinical Research Participation, CISCRP) to organizacja typu non-profit, której celem jest uświadamianie i informowanie opinii publicznej o udziale w klinicznych badaniach naukowych. CISCRP pomogło przygotować to streszczenie wyników badania. CISCRP nie prowadzi działań związanych z rekrutacją uczestników do badań klinicznych, ani z przeprowadzaniem badań klinicznych.

www.ciscrp.org