

**Badanie oceniające stosowanie
BLIB059 w leczeniu toczenia
rumieniowego układowego
(systemic lupus erythematosus, SLE)
z aktywnymi zmianami skórными
oraz aktywnej postaci skórniego
toczenia rumieniowego (cutaneous
lupus erythematosus, CLE) z lub bez
towarzyszących objawów ze strony
narządów wewnętrznych**

- ♦ Lek badany: BLIB059
- ♦ Wskazanie: SLE/CLE
- ♦ Nr protokołu: 230LE201
- ♦ Nr badania: NCT02847598
- ♦ Termin badania:
 - » Rozpoczęcie:
20 października 2016 r.
 - » Zakończenie:
18 listopada 2019 r.



Biogen®

Informacje ogólne

Dziękujemy!

Uczestnik badania klinicznego należy do dużej grupy uczestników badań klinicznych z całego świata. Biorąc udział w tym badaniu, uczestnicy pomagają naukowcom odpowiedzieć na ważne pytania dotyczące zdrowia i ocenić badany lek. Badanie kliniczne oceniające badany lek pomogło naukowcom dowiedzieć się więcej na temat bezpieczeństwa stosowania BIIB059 i tego, czy BIIB059 może pomóc osobom z toczeniem rumieniowatym układowym (ang. systemic lupus erythematosus, SLE) albo toczeniem rumieniowatym skórny (ang. cutaneous lupus erythematosus, CLE). Zarówno SLE, jak i CLE są chorobami przewlekłymi. Zarówno w przebiegu SLE, jak i CLE mechanizm obronny organizmu zwalczający zakażenia błędnie atakuje również zdrowe komórki. Może to obejmować wiele części ciała, w szczególności stawy i skórę.

Firma Biogen, sponsor tego badania, jest wdzięczna osobom, które wzięły udział w badaniu i uważa, że ważne jest to, aby udostępnić ogólne wyniki badania. W przypadku pytań proszę porozmawiać z lekarzem lub inną osobą z personelu prowadzącego badanie.

Dlaczego to badanie było potrzebne?

Badanie zostało przeprowadzone, żeby ocenić, czy BIIB059 łagodzi objawy choroby występujące u uczestników z toczeniem rumieniowatym układowym (SLE) lub toczeniem rumieniowatym skórny (CLE).



Ogólne informacje dotyczące badania

SLE może obejmować wiele części ciała. Najczęstsze objawy to wysypka, obrzęk stawów, obrzęk cienkiej warstwy tkanki otaczającej narządy i obrzęk nerek. W przebiegu SLE mogą występować fazy zwane zaostrzeniami, gdy objawy są bardziej nasilone. Mogą również występować okresy zwane remisjami, gdy objawy mają nasilenie łagodne. Wczesnym objawem możliwego wystąpienia SLE jest choroba skóry zwana toczeniem rumieniowatym skórny.

CLE to choroba, która występuje, gdy układ odpornościowy atakuje skórę. Wiele osób z CLE choruje również na SLE, ale nie wszystkie. W przebiegu CLE obserwuje się wysypkę albo owrzodzenia, które mogą być bolesne i swędzące. Wysypka i owrzodzenia zazwyczaj występują na skórze regularnie narażonej na działanie promieni słonecznych, takiej jak skóra twarzy,

głowy, szyi, rąk i nóg. CLE może powodować blizny, utratę włosów i zmiany koloru skóry w miejscach, w których pojawiają się wysypka czy blizny.

W tym badaniu naukowcy oceniali lek badany BIIB059. Chcieli sprawdzić, czy BIIB059 będzie skuteczniejszy niż placebo. Placebo wygląda jak lek badany, ale nie zawiera żadnych substancji aktywnych. Placebo pozwala naukowcom odpowiednio porównać i ocenić, czy lek badany działa.

Naukowcy chcieli znaleźć odpowiedzi na dwa pytania:

- ◆ Część A – Czy BIIB059 łagodzi objawy choroby u uczestników z SLE, w szczególności tkliwość i obrzęk stawów?
- ◆ Część B – Czy BIIB059 łagodzi objawy choroby u uczestników z CLE?

Kto wziął udział w badaniu?

Część A i Część B

- ◆ Uczestnicy byli w wieku od 18 do 75 lat
- ◆ U uczestników nie występowały zakażenia w ciągu 12 miesięcy przed rozpoczęciem udziału w badaniu
- ◆ Uczestnicy nie przyjmowali określonych leków w ciągu 12 tygodni przed rozpoczęciem udziału w badaniu
- ◆ U uczestników nie występowały określone rodzaje chorób nerek

Część A

- ◆ Rozpoznanie SLE
- ◆ Występowanie przynajmniej:
 - » czterech obrzękniętych stawów w rękach i nadgarstkach oraz
 - » czterech tkliwych stawów
- ◆ Występowanie aktywnych problemów skórnych spowodowanych SLE

Część B

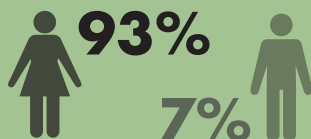
- ◆ Rozpoznanie CLE na podstawie badań laboratoryjnych
- ◆ Występowanie aktywnych problemów skórnych

Miejsca prowadzenia badania



Część A

Uczestnikami były w większości kobiety, a średni wiek wynosił 40 lat



18

Wiek najmłodszego uczestnika

40

Średni wiek uczestnika

73

Wiek najstarszego uczestnika

Część B

Uczestnikami były w większości kobiety, a średni wiek wynosił 44 lata



18

Wiek najmłodszego uczestnika

44

Średni wiek uczestnika

66

Wiek najstarszego uczestnika

Jak przebiegało badanie?

Badanie rozpoczęło się 20 października 2016 r. i zakończyło 18 listopada 2019 r. W badaniu wzięły udział 264 osoby dorosłe. U uczestników występował SLE lub CLE. Przed rozpoczęciem przyjmowania leku badanego lub placebo przeprowadzono wywiad medyczny z każdym z uczestników. Po zakończeniu badania sponsor sporządził sprawozdanie z wyników. Niniejsze informacje to streszczenie tego sprawozdania.

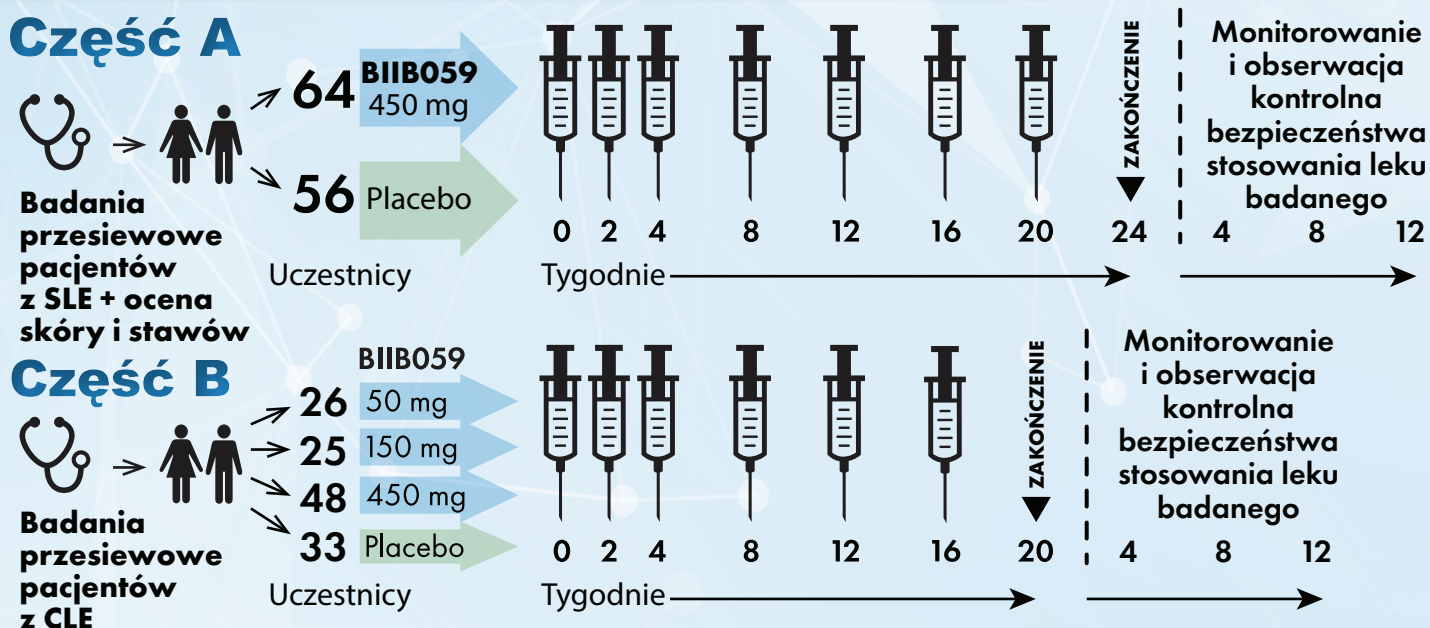
Uczestnicy zostali przydzieleni do poszczególnych grup w sposób losowy, aby zmniejszyć różnice pomiędzy grupami.

Badanie było prowadzone metodą podwójnie ślepej próby. Oznacza to, że osoby zaangażowane w badanie – zarówno uczestnicy, jak i osoby z personelu prowadzącego badanie – nie wiedziały, kto przyjmował BIIB059, a kto przyjmował placebo. Większość uczestników mogła kontynuować swoje standardowe leczenie podczas udziału w badaniu.

Lekarze prowadzący badanie obserwowali uczestników przez dodatkowe 12 tygodni po zakończeniu stosowania leku badanego lub placebo.

Dawki leku badanego oraz liczbę uczestników w każdej grupie w Części A i Części B przedstawiono poniżej.

Jaki był schemat prowadzenia badania?



Część A – Schemat badania

Uczestników przydzielono do dwóch różnych grup. Jedna grupa przyjmowała 450 mg BIIB059, a druga grupa przyjmowała placebo. Dwunastu innych uczestników przyjmowało mniejsze dawki BIIB059. Wszystkim uczestnikom podawano lek badany albo placebo w postaci wstrzyknięcia podskórnego. Wstrzyknięcia podawano co cztery tygodnie przez 20 tygodni. Po dwóch tygodniach od podania pierwszej dawki podano jedną dodatkową dawkę – łącznie podano siedem dawek.

Część B – Schemat badania

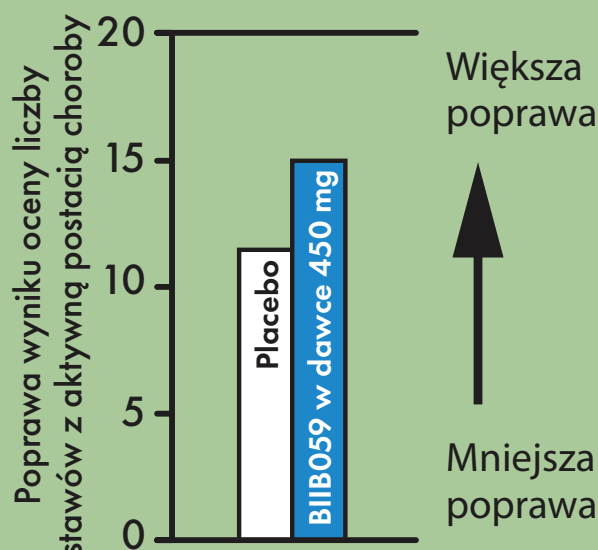
W Części B tego badania uczestników przydzielono do czterech różnych grup. Jedna grupa przyjmowała placebo. Pozostałe trzy grupy przyjmowały dawki 50 mg, 150 mg albo 450 mg BIIB059. Wszystkim uczestnikom podawano lek badany albo placebo w postaci wstrzyknięcia podskórnego. Wstrzyknięcia podawano co cztery tygodnie przez 12 tygodni. Po dwóch tygodniach od podania pierwszej dawki podano jedną dodatkową dawkę – łącznie podano pięć dawek.

Jakie były wyniki badania?

A Czy BIIB059 łagodzi objawy u uczestników z SLE, w szczególności tkliwość i obrzęk stawów?

Tak. Lekarze prowadzący badanie wykorzystywali standardową listę kontrolną służącą do oceny bólu i obrzęku w 28 stawach. Jeżeli w przypadku danego stawu występował ból albo obrzęk, staw ten określano jako „staw z aktywną postacią choroby”. Wynik oceny uczestników na podstawie listy kontrolnej odnotowano na początku badania i na zakończenie badania. Żeby ocenić, czy BIIB059 pomógł uczestnikom, wyniki zostały porównane po zakończeniu badania. Naukowcy chcieli sprawdzić, czy ból i tkliwość stawów uległy poprawie w przypadku stosowania BIIB059.

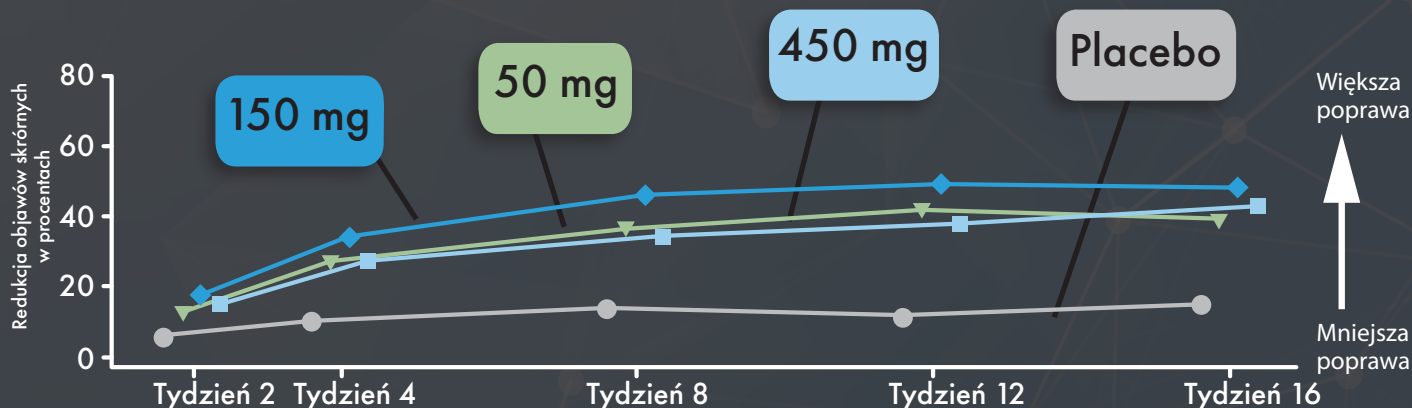
- ♦ Naukowcy wykazali różnicę między wynikami oceny na podstawie listy kontrolnej w dwóch grupach.
- ♦ Po 16 tygodniach u osób, które stosowały BIIB059, występowało 3–4 razy mniej bolesnych albo obrzękniętych stawów niż u osób, które przyjmowały placebo.



B Czy BIIB059 łagodzi objawy u uczestników z CLE?

Tak. Lekarze prowadzący badanie wykorzystywali standardową listę kontrolną dotyczącą objawów CLE i służącą do oceny wysypki i innych objawów skórnych. Korzystając z listy kontrolnej, lekarze prowadzący badanie przyznawali każdemu uczestnikowi punkty w zależności od nasilenia objawów skórnych. Wyniki odnotowano na początku badania i na zakończenie badania.

- ♦ Naukowcy wykazali różnicę między wynikami ocen w czterech grupach.
- ♦ U uczestników przyjmujących BIIB059 wykazano poprawę od 39% do 48% w zakresie objawów skórnych w Tygodniu 16. Stopień poprawy zależał od wielkości dawki BIIB059.
- ♦ W grupie przyjmującej placebo wykazano średnio 14% poprawę.



Ile zdarzeń niepożądanych wystąpiło?

Aby ustalić, czy dany lek badany wywołuje problemy zdrowotne, konieczne jest przeprowadzenie badań klinicznych. Te problemy zdrowotne określa się jako zdarzenia niepożądane. Podczas badań dotyczących leków badanych, lekarze prowadzący badanie rejestrują wszystkie zdarzenia niepożądane. Lekarze odnotowują również wszelkie zdarzenia niepożądane występujące po zakończeniu badania. Nie u wszystkich takie zdarzenia występują. Zdarzenia niepożądane mogą, ale nie muszą, być związane ze stosowaniem leku badanego.

Jednym z celów tego badania było uzyskanie dodatkowych informacji na temat potencjalnych zdarzeń niepożądanych związanych ze stosowaniem BIIB059.

U ilu uczestników w każdej z grup wystąpiły zdarzenia niepożądane?

Część A	Placebo (56 uczestników)	BIIB059 (76 uczestników)
U ilu uczestników wystąpiły zdarzenia niepożądane?	38 (68%)	45 (59%)
U ilu uczestników wystąpiły ciężkie zdarzenia niepożądane?	6 (11%)	4 (5%)
Ilu uczestników przerwało przyjmowanie leku badanego lub placebo z powodu wystąpienia zdarzeń niepożądanych?	3 (5%)	2 (3%)

Część B	Placebo (33 uczestników)	50 mg BIIB059 (26 uczestników)	150 mg BIIB059 (25 uczestników)	450 mg BIIB059 (48 uczestników)	Wszyscy uczestnicy przyjmujący BIIB059 (99 uczestników)
U ilu uczestników wystąpiły zdarzenia niepożądane?	22 (67%)	18 (69%)	15 (60%)	38 (79%)	71 (72%)
U ilu uczestników wystąpiły ciężkie zdarzenia niepożądane?	3 (9%)	1 (4%)	3 (12%)	3 (6%)	7 (7%)
Ilu uczestników przerwało przyjmowanie leku badanego lub placebo z powodu wystąpienia zdarzeń niepożądanych?	0	3 (12%)	1 (4%)	4 (8%)	8 (8%)

Jakie zdarzenia niepożądane wystąpiły?

Jakie zdarzenia niepożądane występowały najczęściej?

Zakażenie górnych dróg oddechowych

Placebo: 1 z 33 (3%)
BIIB059: 6 z 99 (6%)

Zaostrzenie SLE

Placebo: 4 z 33 (12%)
BIIB059: 7 z 99 (7%)

Zakażenie dróg moczowych

Placebo: 4 z 56 (7%)
BIIB059: 5 z 76 (7%)

Ból stawów

Placebo: 2 z 33 (6%)
BIIB059: 6 z 99 (6%)

Ból głowy

Placebo: 3 z 33 (9%)
BIIB059: 9 z 99 (9%)

Przeziębienie

Placebo: 2 z 56 (4%)
BIIB059: 5 z 76 (7%)

Przeziębienie

Placebo: 2 z 33 (6%)
BIIB059: 10 z 99 (10%)

Biegunka

Placebo: 3 z 56 (5%)
BIIB059: 5 z 76 (7%)

Zaczerwienienie w miejscu wstrzyknięcia

Placebo: 1 z 33 (3%)
BIIB059: 9 z 99 (9%)

 **Część A**  **Część B**

Jakie zdarzenia niepożądane wystąpiły? (ciąg dalszy)

Jakie ciężkie zdarzenia niepożądane wystąpiły u uczestników?

Niekiedy występują przypadki ciężkich zdarzeń niepożądanych (ang. serious adverse event, SAE). Wymagają one hospitalizacji bądź powodują przewlekłe problemy zdrowotne. Zdarzenia niepożądane określane są jako ciężkie, również gdy zagrażają życiu albo prowadzą do zgonu. Oto lista ciężkich zdarzeń niepożądanych (SAE), które wystąpiły u uczestników przyjmujących BIIB059.

Część A

- ♦ U czterech na 76 (5%) uczestników przyjmujących BIIB059 wystąpiły SAE
- ♦ W grupie przyjmującej placebo u sześciu na 56 uczestników (11%) wystąpiły SAE
- ♦ Wystąpiły trzy przypadki zgonów; wszystkie zgony dotyczyły uczestników, którzy przyjmowali placebo
- ♦ SAE występujące u uczestników przyjmujących BIIB059:
 - » złamania kostki
 - » ataksja (niezborność ruchowa)
 - » padaczka
 - » ból głowy
 - » zakrzep w płucu
 - » uwięźnięta przepuklina pępkowa (tkanka albo fragment jelita wydostaje się przez wrota przepukliny w pobliżu pępka i nie można jej odprowadzić z powrotem w głąb)

Część B

- ♦ U siedmiu na 99 (7%) uczestników przyjmujących BIIB059 wystąpiły SAE
- ♦ W grupie przyjmującej placebo u trzech na 33 uczestników (9%) wystąpiły SAE
- ♦ Nie wystąpiły przypadki zgonów
- ♦ SAE występujące u uczestników przyjmujących BIIB059:
 - » SLE
 - » zawał serca
 - » nieprawidłowy, przyspieszony rytm serca
 - » nowotwór skóry
 - » nienowotworowy guz w macicy
 - » niedokrwistość
 - » ból głowy
 - » reakcja alergiczna na BIIB059
 - » niedrożność jelit
 - » uczucie mrowienia i klucia w rękach i/ lub stopach
 - » zaburzenia widzenia
 - » zakażenie krwi na skutek zakażenia układu moczowego

Dodatkowe informacje na temat badania

Dodatkowe informacje na temat badania można znaleźć na stronie internetowej www.clinicaltrials.gov.

Po wejściu na stronę internetową proszę wpisać NCT02847598 w polu wyszukiwania i kliknąć „Search” (Szukaj). Dodatkowe informacje można również znaleźć na stronie internetowej www.clinicaltrialsregister.eu.

Po wejściu na stronę internetową proszę kliknąć „Home & Search” (Strona główna i wyszukiwanie), a następnie wpisać „2015-004359-32” w polu wyszukiwania i kliknąć „Search” (Szukaj).

W przypadku pytań dotyczących BIIB059 lub wyników niniejszego badania proszę porozmawiać z osobą z personelu prowadzącego badanie.

Tytuł badania: Randomizowane, prowadzone metodą podwójnie ślepej próby, z grupą kontrolną otrzymującą

placebo, dwuczęściowe badanie fazy II oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania BIIB059 u pacjentów z toczniem rumieniowatym układowym z aktywnymi zmianami skórными oraz u pacjentów z aktywną postacią skórno tocznia rumieniowatego z lub bez towarzyszących objawów ze strony narządów wewnętrznych.

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

Zaprezentowane tutaj wyniki dotyczą jednego badania. Nie należy wprowadzać zmian w leczeniu na podstawie wspomnianych wyników bez uprzedniej konsultacji z lekarzem. Trwają dalsze badania dotyczące BIIB059.

Amerykańska baza danych klinicznych

- ◆ <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02847598>
- ◆ www.clinicaltrials.gov
- ◆ Nr Badania: NCT02847598

Europejska baza danych klinicznych

- ◆ <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2015-004359-32>
- ◆ www.clinicaltrialsregister.eu
- ◆ Nr Badania: 2015-004359-32

Dziękujemy!

Uczestnicy badań klinicznych pomagają lekarzom i naukowcom poszerzać wiedzę medyczną i opracowywać nowe leki dla pacjentów. Firma Biogen dziękuje wszystkim uczestnikom i opiekunom zaangażowanym w badanie. Mamy nadzieję, że to streszczenie pomoże uczestnikom lepiej zrozumieć ich rolę w poszerzaniu wiedzy na temat stosowania BIIB059 u pacjentów z SLE lub CLE.

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



©2020 Biogen.
Wszelkie prawa zastrzeżone.