

## РЕЗУЛЬТАТЫ КЛИНИЧЕСКОГО ИССЛЕДОВАНИЯ

---

# Исследование для изучения безопасности и эффективности препаратов Текфидера и Плегриди у детей с рецидивирующе- ремиттирующим рассеянным склерозом

Исследуемые лекарственные препараты:

Текфидера (диметилфумарат, BG00012)

Плегриди (пэгинтерферон бета-1а, BIIIB017)

Номер протокола: 800MS301 (BLAST)

Даты проведения исследования:

Дата начала: 16 апреля 2019 г.

Дата окончания: 21 июля 2022 г.

## Благодарим вас!

Участники клинических исследований — часть большого сообщества людей по всему миру, связанных с проведением клинических исследований. Участвуя в исследованиях, они помогают исследователям ответить на важные медицинские вопросы и получить информацию о новых лекарственных препаратах.

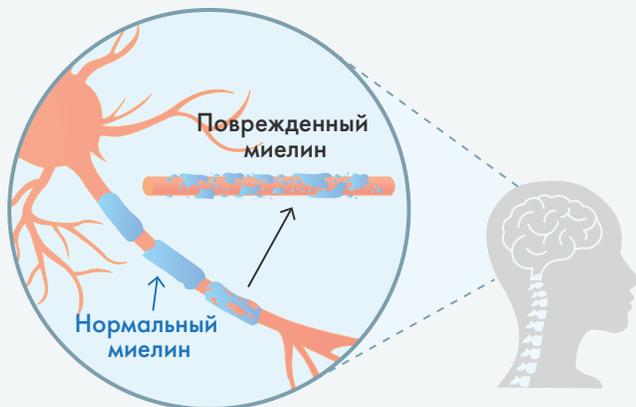
В ходе этого исследования исследователи получили информацию о действии препаратов Текфидера и Плегриды у пациентов детского возраста с рецидивирующе-ремиттирующим рассеянным склерозом. Текфидера и Плегриды уже одобрены для применения у взрослых.

Компания «Биоген», спонсор этого исследования, благодарит всех, кто принял участие в исследовании, и считает, что важно поделиться общими результатами исследования. Если у вас возникнут вопросы, обсудите их с врачом или сотрудниками исследовательского центра.

## Зачем проводилось это исследование?

Исследователи искали лекарственные препараты, которые могли бы помочь пациентам детского возраста с определенными типами **рассеянного склероза (РС)**.

При РС иммунная система атакует нервы головного и спинного мозга. Это приводит к повреждению **миелина** — защитной оболочки нервов. Такое повреждение затрудняет работу головного мозга и передачу сигналов по всему организму. РС — это прогрессирующее заболевание. Это означает, что оно постепенно прогрессирует и в редких случаях может привести к смерти.



Симптомы РС включают усталость, онемение, покалывание и мышечную слабость. К симптомам также относят проблемы со зрением, ходьбой, мышлением и использованием туалета. У людей с **рецидивирующе-ремиттирующим РС** (сокращенно «РРРС») эти симптомы могут наблюдаться в течение нескольких часов или дней, а затем исчезают, но позже возвращаются снова. Рецидив — это появление новых симптомов или усугубление уже имеющихся. Когда симптомы исчезают, это называется **ремиссией**.

У людей с РРРС с течением времени и после каждого рецидива ограничение физической функции может усугубляться. Ограничение физической функции — это когда людям трудно выполнять определенные действия,

или они не могут такие действия выполнять.

В настоящее время не существует лекарственных препаратов, способных вылечить РРРС или восстановить поврежденные нервы. Однако было показано, что некоторые препараты снижают количество рецидивов.

Современные методы лечения РРРС включают лекарственные препараты, которые нацелены на снижение частоты атак иммунной системы на нервы. В данном исследовании изучалось 2 препарата: **Текфидера** и **Плегриды**. Текфидера по-другому называется «диметилфумарат» или «ДМФ». Плегриды по-другому называется «пегинтерферон бета-1а». Оба препарата одобрены для лечения РРРС у взрослых.

Однако существует необходимость в поиске новых методов лечения для пациентов детского и подросткового возраста. Таким образом, исследователи хотели больше узнать о действии препаратов Текфидера и Плегриды у участников с РРРС в возрасте от 10 до 17 лет.

**Основными вопросами, на которые исследователи хотели найти ответы, были следующие:**

- Сколько времени проходило с момента начала исследуемого лечения до возникновения первого рецидива РС?
- Какие возможные нежелательные реакции наблюдались у участников?

**Нежелательная реакция** — это проблема со здоровьем, которую, по мнению врачей-исследователей, могли вызвать исследуемые препараты. Она может развиваться во время клинического исследования или в течение определенного периода времени после завершения исследования.

## Кто принимал участие в исследовании?

В исследование были включены 11 участников, в том числе 3 мальчика и 8 девочек.



(27 %) 3 мальчика



(73 %) 8 девочек

Все участники были в возрасте от 13 до 17 лет.

Исследование проводилось в 6 исследовательских центрах в Эстонии, Иордании, Тайване, Тунисе и Турции.



Участники **могли принять участие** в этом исследовании при соответствии следующим условиям:



Возраст от 10 до 17 лет.



Поставлен диагноз РППС.



Рецидивы и (или) участки активного воспаления в головном мозге до начала участия в исследовании.

Участники **не могли принять участие** в этом исследовании при соответствии следующим условиям:



Другие формы РС или состояния, похожие на РС.



Рецидив в течение одного месяца до начала применения исследуемых препаратов или продолжающийся рецидив.



Прием определенных лекарственных препаратов, которые могут повлиять на проведение исследования.

Для получения дополнительной информации о том, кто мог принять участие в этом исследовании, посетите веб-сайты, приведенные на [последней странице этого краткого обзора](#).

## Какие исследуемые препараты получали участники?

Исследователи изучали следующие препараты:

- Текфидера, 240 миллиграммов (мг) перорально два раза в сутки в виде капсул.
- Плегриди, 125 микрограммов (мкг) один раз в две недели в виде подкожной инъекции.
- Плацебо в виде капсул для приема внутрь или в виде подкожной инъекции.



**Плацебо** выглядит так же, как исследуемый препарат, но не содержит действующего вещества. Исследователи использовали плацебо, чтобы лучше понять, были ли различия между группами вызваны исследуемыми препаратами.

# Что происходило во время исследования?

## Как проводилось исследование?

Что это было за исследование:

**Фаза 3.** Обычно это последняя фаза клинических исследований перед тем, как подать в государственные органы заявку на одобрение нового препарата для применения вне клинических исследований.

**Двойное слепое.** Исследование было двойным слепым. Это означает, что ни исследователи, ни участники не знали, получали ли участники препарат Текфидера, Плегриды или плацебо.

**Рандомизированное исследование.** Это исследование было рандомизированным. Это означает, что исследователи использовали компьютерную программу для случайного назначения, какой препарат будет получать каждый участник. Так добиваются непредвзятого распределения участников по группам.

**В начале исследования** все участники прошли скрининговый визит. Этот визит включал медицинский осмотр, обследования сердца, анализы крови и мочи, а также другие анализы для изучения симптомов РППС. Участники или лица, осуществлявшие за ними уход, также отвечали на вопросы об истории болезни.

После скрининга в общей сложности 11 участников были случайным образом распределены по трем группам.



### Участники в группе препарата Текфидера:

- Принимали препарат Текфидера в дозе 120 мг два раза в сутки в течение первых 7 дней.
- После этого они принимали препарат Текфидера в дозе 240 мг два раза в сутки до конца периода лечения.
- Им также выполняли подкожную инъекцию плацебо один раз в две недели, которая выглядела как Плегриды.



### Участники в группе препарата Плегриды:

- Получали Плегриды в дозе 63 мкг в день 1 лечения.
- Затем они получали Плегриды в дозе 96 мкг через 2 недели.
- После этого они получали Плегриды в дозе 125 мкг каждые 2 недели до конца периода лечения.
- Они также принимали капсулы плацебо два раза в сутки, которые выглядели как Текфидера.



### Участники в группе плацебо:

- Два раза в сутки получали капсулы плацебо, которые выглядели как Текфидера.
- Им также выполняли подкожную инъекцию плацебо один раз в две недели, которая выглядела как Плегриды.

Ожидалось, что участники будут получать исследуемые препараты в течение примерно 2 лет.

Участники регулярно посещали клинику на протяжении всего исследования. Эти визиты выполнялись один раз в месяц в течение первых трех месяцев лечения. После этого участники посещали клинику один раз в 3 месяца.

Во время этих визитов участники проходили обследования для оценки симптомов РС и общего состояния.

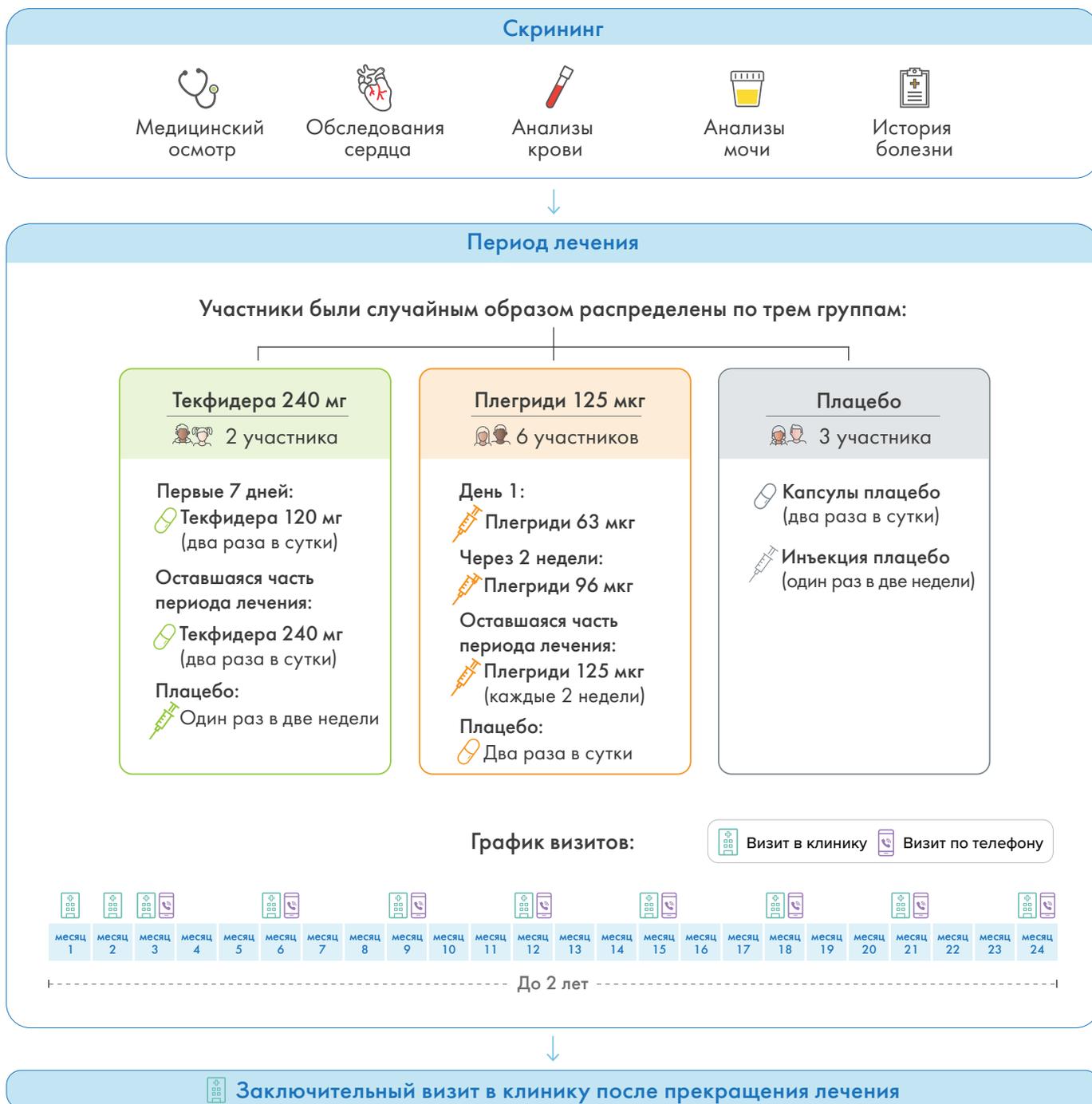
Участники также проходили дополнительные медицинские осмотры, а также анализы крови и мочи.

Через 1 месяц после прекращения лечения участники приходили на заключительный визит.

Исследователи также звонили участникам по телефону один раз в 3 месяца для проверки состояния их здоровья. Во время визитов в клинику и телефонных звонков у участников спрашивали о нежелательных явлениях. Нежелательные явления — это проблемы со здоровьем, которые могут быть вызваны, а могут и не быть вызваны исследуемыми препаратами.

Если у участника наблюдался рецидив или течение заболевания усугублялось, было предусмотрено 2 варианта. Врачи-исследователи могли изменить лечение или вывести участника из исследования.

На рисунке ниже показано, как проводилось исследование.



## Каковы были результаты исследования?

После завершения исследования компания «Биоген» составила отчет о результатах. Здесь приводится краткий обзор этого отчета. Краткий обзор результатов представлен в отношении 11 участников, получавших препарат Текфидера, Плегриди или плацебо. Отдельные результаты конкретных участников могут отличаться и не включены в этот краткий обзор.

Исследователи хотели набрать более 200 участников. Однако в исследовании смогли принять участие только 11 участников. В результате исследование было завершено досрочно.

Ниже приведены результаты только этого исследования. В других исследованиях могут быть получены другие результаты. Если у вас возникнут какие-либо вопросы, обратитесь к своему врачу-исследователю или персоналу исследовательского центра.

## Сколько времени проходило с момента начала исследуемого лечения до возникновения первого рецидива РС?

Это была первичная конечная точка исследования. Первичная конечная точка — это основной вопрос, на который хотели ответить исследователи. Для ответа на этот вопрос исследователи регистрировали все рецидивы, которые наблюдались у участников.

В исследование не было набрано достаточное количество участников. Поэтому исследователи не смогли сделать какие-либо выводы о том, сколько времени может пройти до первого рецидива РС.

## Какие возможные нежелательные реакции возникали во время исследования?

В этом разделе представлен краткий обзор нежелательных реакций, о которых сообщали участники в ходе исследования. При изучении новых лекарственных препаратов исследователи отслеживают все нежелательные реакции, которые наблюдаются у участников во время исследования. Не у всех пациентов развиваются одинаковые нежелательные реакции.

**Нежелательная реакция** — это проблема со здоровьем, которая, по мнению врачей-исследователей, связана с исследуемым препаратом. **Нежелательная реакция считается серьезной**, если она приводит к смерти, представляет угрозу для жизни, вызывает долгосрочные проблемы или требует госпитализации.

Врачи-исследователи решают, связана ли нежелательная реакция с исследуемым препаратом или нет. Во время принятия этого решения врачи-исследователи не знают, получает ли участник исследуемые препараты или плацебо. Это важно для того, чтобы исключить влияние на врачей-исследователей при принятии решений об исследуемых препаратах.

Для определения того, действительно ли нежелательные реакции связаны с исследуемыми препаратами или плацебо, требуется проведение многих исследований.

## У какого количества участников наблюдались нежелательные реакции во время этого исследования?

В приведенной ниже таблице указано количество участников, у которых наблюдались нежелательные реакции во время этого исследования.

### Краткий обзор нежелательных реакций

	Текфидера (2 участника)	Плегриди (6 участников)	Плацебо (3 участника)
У какого количества участников наблюдались нежелательные реакции?	50 % (1)	33 % (2)	33 % (1)

Ни у кого из участников этого исследования не было серьезных нежелательных реакций. Ни один из участников не прекратил применение исследуемых препаратов в связи с развитием нежелательных реакций. В ходе этого исследования ни один из участников не умер.

## Какие частые нежелательные реакции возникали во время исследования?

В общей сложности у **36 % участников** в ходе исследования развилась нежелательная реакция. Это произошло у **4 из 11 участников**. У одного из участников наблюдалось более одной нежелательной реакции.

В приведенной ниже таблице представлены нежелательные реакции, которые наблюдались у участников исследования.

**Список нежелательных реакций**

	<b>Текфидера</b> (2 участника)	<b>Плегриди</b> (6 участников)	<b>Плацебо</b> (3 участника)
Озноб	0	17 % (1)	0
Образование синяка в месте инъекции	0	17 % (1)	0
Розовые или красные пятна в месте инъекции	0	17 % (1)	0
Нарушения со стороны желудка и кишечника	0	0	33 % (1)
Розовые или красные пятна на коже	50 % (1)	0	0

## Как это исследование помогло пациентам и исследователям?

Исследователи изучают результаты многих исследований, чтобы решить, какое лечение является наиболее эффективным и безопасным для пациентов. Это исследование помогло исследователям больше узнать о безопасности препаратов Текфидера и Плегриди у детей с RPPC.

В этом исследовании было недостаточно участников, чтобы исследователи смогли ответить на свой главный вопрос. В целом каких-либо новых проблем с безопасностью в этом исследовании выявлено не было.

Важно знать, что результаты, представленные в этом кратком обзоре, получены только в ходе этого исследования. В других исследованиях могут быть получены другие результаты. В настоящее время проводятся и другие исследования с применением препаратов Текфидера и Плегриди у детей.

## Где я могу узнать больше об этом исследовании?

Дополнительную информацию о данном исследовании можно найти на следующих веб-сайтах:

База данных клинических исследований США

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



Реестр клинических исследований ЕС

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



**Официальное название исследования:** Рандомизированное, двойное слепое, плацебо-контролируемое исследование с двойной имитацией, проводимое в 3 параллельных группах среди пациентов детского возраста от 10 до 17 лет включительно с целью оценки эффективности и безопасности препаратов BG00012 и ВПВ017 для лечения рецидивирующе-ремиттирующего рассеянного склероза.

Если у вас возникнут вопросы о препаратах Текфидера, Плегриди или о результатах этого исследования, обратитесь к врачу или персоналу исследовательского центра.

Представленные здесь результаты относятся к одному исследованию. Не следует вносить изменения в свое лечение на основании этих результатов без предварительной консультации с врачом.

Головной офис компании «Биоген», спонсора этого исследования, находится в городе Кембридж, штат Массачусетс (США).

Благодарим вас!



225 Бинни-стрит  
Кембридж, штат Массачусетс,  
02142 (США)  
ClinicalTrials@Biogen.com