

KLİNİK ARAŞTIRMA SONUÇLARI

Nükseden-Tekrarlayan Multipl Sklerozu Olan Pediatrik Gönüllülerde Tecfidera ve Plegridy'nin Güvenliliği ve Etkileri Hakkında Bilgi Edinmeye Yönelik Bir Çalışma

Çalışılan İlaçlar: Tecfidera (dimetil fumarat, BG00012)

Plegridy (peginterferon beta-1a, B1B017)

Protokol Numarası: 800MS301 (Bioest Lipozomal Alendronat
ile Stentleme Çalışması-BLAST)

Çalışma Tarihleri:

Başlangıç Tarihi: 16 Nisan 2019

Tamamlanma Tarihi: 21 Temmuz 2022

Teşekkür ederiz!

Bir klinik çalışma gönüllüsü, dünya çapında daha geniş bir klinik araştırma topluluğuna aittir. Bir çalışmaya katılarak araştırmacıların önemli sağlık sorularını yanıtlamasına ve yeni ilaçlar hakkında bilgi edinmesine yardımcı olmaktadır.

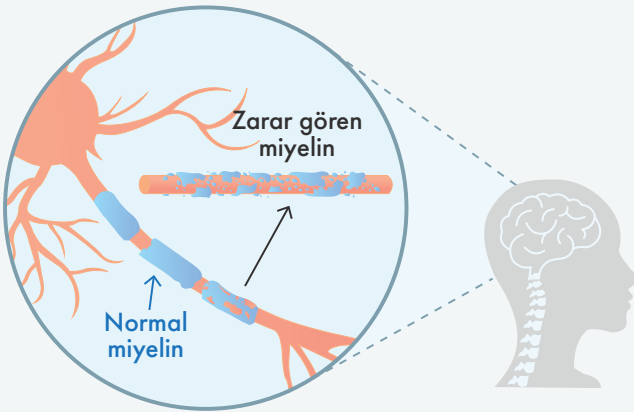
Bu çalışmada araştırmacılar relapse-tekrarlayan multipl sklerozlu genç hastalarda Tecfidera ve Plegridy ilaçları hakkında daha fazla bilgi edinmiştir. Tecfidera ve Plegridy yetişkinlerde kullanım için hâlihazırda onaylanmıştır.

Bu çalışmanın destekleyicisi olan Biogen, çalışmaya katılanlara teşekkür etmekte ve çalışmanın genel sonuçlarının paylaşılmasının önemli olduğuna inanmaktadır. Sorularınız varsa, lütfen doktorunuzla veya çalışma araştırma merkezindeki personelle görüşün.

Bu çalışma neden yapıldı?

Araştırmacılar, belirli **multipl skleroz (MS)** türlerine sahip pediatrik hastalara yardımcı olabilecek ilaçlar arıyorlardı.

MS'te, bağışıklık sistemi beyindeki ve omurilikteki sinirlere saldırır. Bu da sinirler üzerinde koruyucu bir tabaka olan **miyelinin** hasar görmesine neden olur. Bu durum beyin çalışmasını ve tüm vücuda mesaj göndermesini zorlaştırır. MS ilerleyebilen bir hastalıktır. Bu da, yavaş yavaş kötüleştiği ve nadir durumlarda ölüme yol açabileceği anlamına gelmektedir.



MS'in belirtileri arasında yorgunluk, uyuşma, karıncalanma ve kas güçsüzlüğü yer alır. Belirtiler arasında görme, yürüme, düşünme ve tuvalet kullanımı ile ilgili sorunlar da yer alır. **RRMS** olarak da bilinen relapse-tekrarlayan **MS'li kişilerde** bu belirtiler birkaç saat veya gün sürebilir, daha sonra tekrar ortaya çıkmak üzere kaybolabilir. Relapslar, yeni belirtiler başladığında veya mevcut belirtilerde kötüleşme olduğunda görülür. Belirtiler ortadan kalktığında buna gerileme adı **verilir**.

RRMS ile yaşayan kişilerde engellilik zaman içinde her relapsta daha da kötüleşebilir. Engellilik, insanların belirli faaliyetleri yapmalarının zor ya da imkansız olduğu durumlardır.

Şu anda RRMS'i tedavi edecek veya hasarlı sinirleri onaracak hiçbir ilaç bulunmamaktadır. Ancak birkaç ilacın relaps sayısını azalttığı gösterilmiştir.

RRMS için mevcut tedaviler, bağışıklık sisteminin sinirlere sıkça saldırmasını önlemeye çalışan ilaçları içermektedir. Bu çalışmada araştırmacıların araştırdığı 2 ilaç **Tecfidera ve Plegridy**'dir. Tecfidera, dimetil fumarat veya DMF olarak da bilinir. Plegridy, peginterferon beta-1a olarak da bilinir. Her ikisi de yetişkinlerde RRMS tedavisi için onaylanmıştır.

Ancak daha genç hastalar için yeni tedaviler bulunmasına ihtiyaç vardır. Sonuç olarak araştırmacılar 10 ila 17 yaşları arasındaki RRMS'li gönüllülerden Tecfidera ve Plegridy hakkında daha fazla bilgi edinmek istediler.

Araştırmacıların yanıtlamak istedikleri temel sorular şunlardı:

- Çalışma tedavisine başladıktan sonra ilk MS relapsının ortaya çıkması ne kadar zaman aldı?
- Gönüllüler ne tür olası advers reaksiyonlar gösterdi?

Bir **advers reaksiyon**, çalışma doktorlarının muhtemelen çalışma ilaçlarından kaynaklandığını bildirdiği tıbbi bir sorundur. Bu, bir klinik çalışma sırasında veya çalışma sona erdikten sonra belirli bir süre içinde gerçekleşebilir.

Çalışmaya kimler katıldı?

Çalışmada 3 erkek ve 8 kız olmak üzere 11 gönüllü yer almıştır.



(%27) 3 erkek



(%73) 8 kız

Tüm gönüllüler 13 ila 17 yaşları arasındaydı.

Çalışma
Estonya, Ürdün, Tayvan,
Tunus ve Türkiye'deki
6 araştırma merkezinde gerçekleştirildi.



Gönüllüler aşağıdaki şartları sağladıkları takdirde bu çalışmada yer alabilmişlerdir:



10 ila 17 yaşları arasında olanlar



RRMS tanısı konulanlar



Çalışmaya katılmadan önce
relapslara ve/veya beyinde aktif
inflamasyon bölgelere sahip olanlar

Gönüllüler aşağıdaki durumlara sahip oldukları takdirde bu çalışmada yer alamamışlardır:



MS'in diğer formlarına veya MS'e
benzeyen rahatsızlıklara sahip olanlar



Çalışma ilaçlarını almadan 1 ay önce
relaps yaşamış veya relapsı devam edenler



Çalışmaya engel olabilecek bazı
ilaçları kullananlar

Bu çalışmaya kimlerin katılabileceği hakkında daha fazla bilgi için, lütfen [bu özetin son sayfasında](#) listelenen İnternet sitelerine bakın.

Gönüllüler hangi çalışma ilaçlarını aldılar?

Araştırmacılar aşağıdaki ilaçları incelemiştir:

- Tecfidera, 240 miligram (mg), günde iki kez ağızdan alınan kapsüller olarak verilir.
- Plegridy, 125 mikrogram (µg), her 2 haftada bir cilt altına enjekte edilir.
- Plasebo, ya ağızdan alınan kapsüller ya da cilt altına enjekte edilir.



Bir plasebo çalışma ilacı gibi görünür ancak gerçek bir ilaç içermez. Araştırmacılar, gruplar arasındaki farklılıkların çalışma ilaçlarından kaynaklanıp kaynaklanmadığını daha iyi anlamak için bir plasebo kullanmışlardır.

Çalışma sırasında neler oldu?

Çalışma nasıl yapıldı?

Çalışma şu şekilde gerçekleşti:

Faz 3: Bu, genellikle yeni bir ilacın klinik çalışmalar dışında kullanılmak üzere onay için resmi makamlara sunulmasından önceki klinik çalışmaların son fazıdır.

Çift kör: Çalışma çift kör olarak gerçekleştirilmiştir. Bu, ne araştırmacıların ne de gönüllülerin Tecfidera, Plegridy veya plasebo alıp almadıklarını bilmedikleri anlamına gelmektedir.

Randomize çalışma: Bu çalışma randomize olarak gerçekleştirilmiştir. Bu, araştırmacıların her gönüllünün aldığı ilacı bir bilgisayar programı kullanarak rastgele seçtiği anlamına gelmektedir. Grupların adil bir şekilde seçildiğinden emin olunmasına da katkı sağlamıştır.

Çalışmanın başlangıcında tüm gönüllüler bir tarama ziyareti gerçekleştirmişlerdir. Bu ziyaret; fizik muayene, kalp testleri, kan ve idrar testleri ve RRMS belirtilerini kontrol edecek diğer testleri kapsıyordu. Gönüllüler veya bakıcıları tıbbi öyküleri ile ilgili soruları da yanıtlamışlardır.

Taramanın ardından toplam 11 gönüllü 3 gruptan 1'ine rastgele yerleştirilmiştir.

Tecfidera grubundaki gönüllüler:

- İlk 7 gün boyunca günde iki kez 120 mg Tecfidera almışlardır.
- Daha sonra tedavi döneminin geri kalanı boyunca günde iki kez 240 mg Tecfidera almışlardır.
- Ayrıca her 2 haftada bir Plegridy'ye benzeyen bir plasebo cilt altına enjekte edilmiştir.

Plegridy grubundaki gönüllüler:

- Tedavinin 1. Gününde 63 µg Plegridy almışlardır.
- Ardından 2 hafta sonra 96 µg Plegridy almışlardır.
- Daha sonra tedavi döneminin geri kalanı boyunca her 2 haftada bir 125 µg Plegridy almışlardır.
- Ayrıca günde iki kez Tecfidera'ya benzeyen plasebo kapsüller de almışlardır.

Plasebo grubundaki gönüllüler:

- Tecfidera'ya benzeyen plasebo kapsülleri günde iki kez almışlardır.
- Ayrıca her 2 haftada bir Plegridy'ye benzeyen bir plasebo cilt altına enjekte edilmiştir.

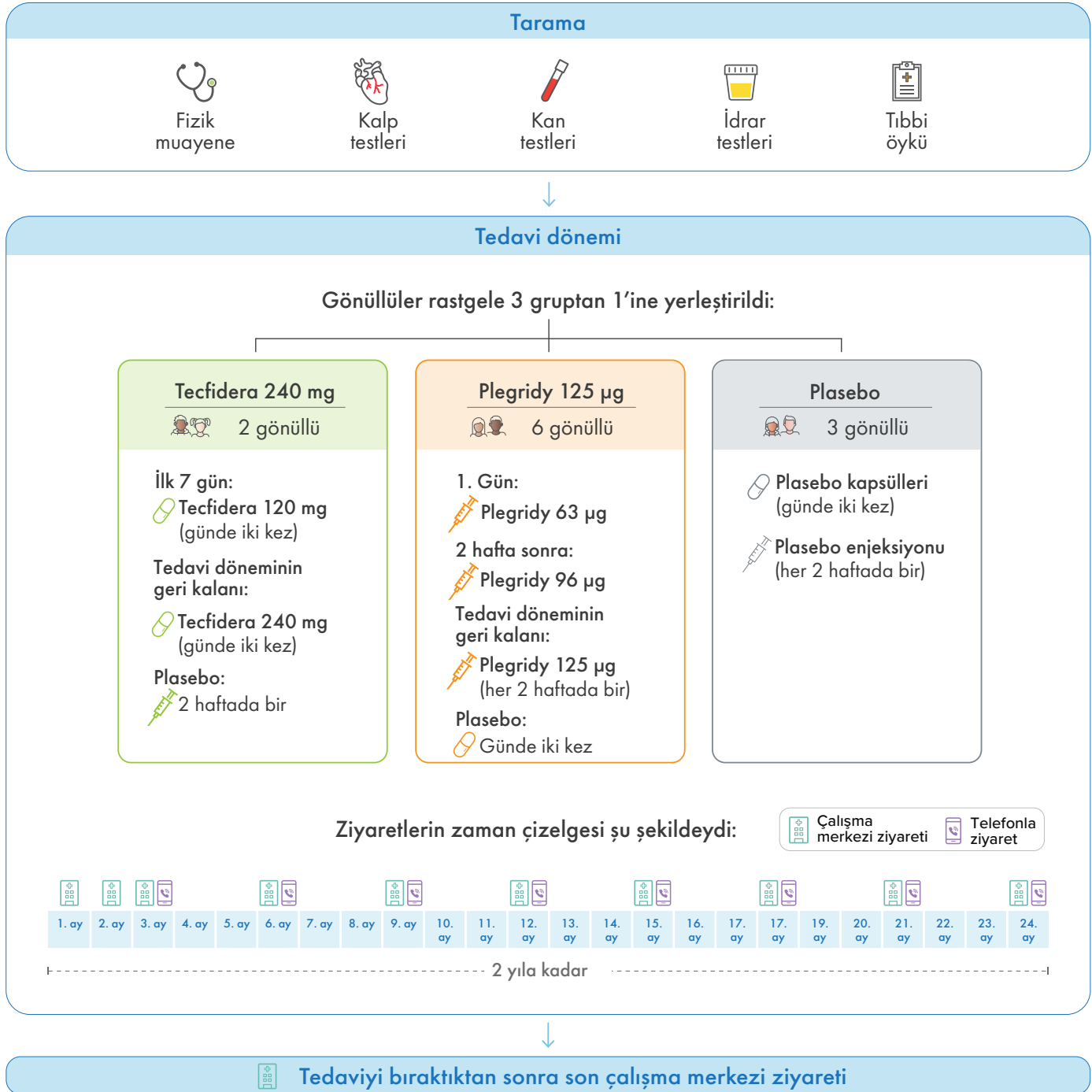
Gönüllülerin yaklaşık 2 yıla kadar çalışma ilaçlarını almaya devam etmeleri beklenmiştir.

Gönüllüler çalışma boyunca kliniği düzenli olarak ziyaret etmişlerdir. Bu ziyaretler tedavinin ilk 3 ayında ayda bir kez gerçekleştirilmiştir. Daha sonra 3 ayda bir kliniği ziyaret etmişlerdir. Bu ziyaretler sırasında, gönüllülere MS belirtilerini ve genel sağlık durumlarını değerlendirmek üzere testler yapılmıştır. Ayrıca ek fizik muayeneler ile kan ve idrar testleri de yapılmıştır. Gönüllüler tedaviyi bıraktıktan 1 ay sonra son bir ziyaret gerçekleştirmişlerdir.

Araştırmacılar ayrıca her 3 ayda bir gönüllüleri telefonla arayarak sağlık durumlarını kontrol etmişlerdir. Klinik ziyaretleri ve telefon görüşmeleri sırasında gönüllüler advers olaylar açısından kontrol edilmişlerdir. Advers olaylar, çalışma ilaçlarından kaynaklanabilecek veya kaynaklanmayabilecek tıbbi sorunlardır.

Bir gönüllünün hastalığının relaps yapması ya da kötüleşmesi durumunda 2 seçenek bulunuyordu. Çalışma doktorları tedavilerini değiştirebilir veya onları çalışmadan çıkarabilirdi.

Aşağıdaki grafik, çalışmanın nasıl yapıldığını göstermektedir.



Çalışma sonuçları nelerdi?

Çalışma sona erdiğinde Biogen sonuçlarla ilgili bir rapor hazırlamıştır. Bu, söz konusu raporun bir özetidir. Sonuçların özeti; Tecfidera, Plegridy veya plasebo alan 11 gönüllü için sunulmaktadır. Her bir gönüllünün kişisel sonuçları farklı olabilir ve bu özette yer almamaktadır.

Araştırmacılar 200'den fazla gönüllü kaydetmek istemişlerdir. Ancak çalışmaya sadece 11 gönüllü katılabilmektedir. Sonuç olarak çalışma erken sonlandırılmıştır.

Aşağıdaki sonuçlar sadece bu çalışmaya aittir. Diğer çalışmalar farklı sonuçlar verebilir. Sorularınız varsa, lütfen çalışma doktorunuza veya çalışma araştırma merkezi personeline danışın.

Çalışma tedavisine başladıktan sonra ilk MS relapsının ortaya çıkması ne kadar zaman aldı?

Bu, çalışmanın birincil sonlanım noktasıydı. Birincil sonlanım noktası, araştırmacıların yanıtlamak istediği temel sorudur. Bu soruyu yanıtlamak için araştırmacılar gönüllünün geçirdiği relapsları kaydetmişlerdir.

Çalışmaya yeterli sayıda gönüllü kaydedilmemiştir. Bu nedenle araştırmacılar ilk MS relapsının ne kadar zaman alabileceği konusunda herhangi bir sonuca varamamışlardır.

Çalışma sırasında hangi olası advers reaksiyonlar meydana geldi?

Bu bölüm, gönüllülerin çalışma sırasında bildirdiği advers reaksiyonların bir özetidir. Yeni ilaçlar üzerinde çalışılırken araştırmacılar gönüllülerin çalışma sırasında yaşadıkları tüm advers reaksiyonları takip etmektedirler. Herkes aynı advers reaksiyonları yaşamaz.

Bir **advers reaksiyon**, çalışma doktorlarının çalışma ilacıyla ilgili olduğunu bildirdiği tıbbi bir sorundur. Bir **advers reaksiyon** ölümle sonuçlandığında, yaşamı tehdit ettiğinde, kalıcı sorunlara neden olduğunda veya hastane bakımı gerektirdiğinde **ciddi olarak kabul edilir**.

Advers reaksiyonun çalışma ilacıyla ilişkili olup olmadığına çalışma doktorları karar verir. Bu kararı verirken çalışma doktorları bir gönüllünün çalışma ilaçlarını mı yoksa plasebo mu aldığını bilmemektedir. Bu, çalışma doktorlarının çalışma ilaçları hakkında karar verirken etkilenmemesi için önemlidir.

Advers reaksiyonların gerçekten çalışma ilaçlarıyla mı yoksa plasebo ile mi ilgili olduğunu belirlemek için birçok çalışma yapılması gerekmektedir.

Bu çalışma sırasında kaç gönüllü advers reaksiyon yaşadı?

Aşağıdaki tablo, bu çalışma sırasında kaç gönüllünün advers reaksiyon yaşadığını göstermektedir.

Advers reaksiyonların özeti			
	Tecfidera (2 gönüllü)	Plegridy (6 gönüllü)	Plasebo (3 gönüllü)
Kaç gönüllü advers reaksiyon yaşadı?	%50 (1)	%33 (2)	%33 (1)

Bu çalışmadaki hiçbir gönüllüde ciddi advers reaksiyon yaşanmamıştır.
Hiçbir gönüllü advers reaksiyonlar nedeniyle çalışma ilaçlarını almayı bırakmamıştır.
Bu çalışma sırasında hiçbir gönüllü ölmemiştir.

Bu çalışma sırasında hangi yaygın advers reaksiyonlar meydana geldi?

Gönüllülerin toplam %36'sı çalışma sırasında bir advers reaksiyon yaşamışlardır. Bu da 11 gönüllüden 4'ünü teşkil etmektedir. Gönüllülerden birinde 1'den fazla advers reaksiyon yaşanmıştır.

Aşağıdaki tabloda meydana gelen advers reaksiyonlar gösterilmektedir.

Advers reaksiyonların listesi			
	Tecfidera (2 gönüllü)	Plegridy (6 gönüllü)	Plasebo (3 gönüllü)
Üşüme	0	%17 (1)	0
Enjeksiyon bölgesinde morarma	0	%17 (1)	0
Enjeksiyon bölgesinde pembe veya kırmızı lekeler	0	%17 (1)	0
Mide ve bağırsak bozukluğu	0	0	%33 (1)
Ciltte pembe veya kırmızı lekeler	%50 (1)	0	0

Bu çalışma hastalara ve araştırmacılara nasıl katkı sağladı?

Araştırmacılar, hangi tedavilerin hastalar için en iyi ve en güvenli olduğuna karar vermek üzere birçok çalışmanın sonuçlarına bakmaktadır. Bu çalışma, araştırmacıların RRMS'li gençlerde Tecfidera ve Plegridy'nin güvenliği hakkında daha fazla bilgi edinmelerine yardımcı olmuştur.

Bu çalışmada araştırmacıların ana sorularını yanıtlamaları için yeterli gönüllü yoktu. Genel olarak bu çalışmada yeni güvenlik endişeleri keşfedilmemiştir.

Bu özeteki sonuçların yalnızca bu çalışmadan elde edildiğini bilmek önemlidir. Diğer çalışmalar farklı sonuçlar verebilir. Pedyatrik gönüllülerde Tecfidera ve Plegridy'yi araştıran diğer çalışmalar devam etmektedir.

Çalışma hakkında daha fazla bilgiyi nereden edinebilirsiniz?

Çalışma hakkında daha fazla bilgiyi aşağıdaki internet sitelerinde çevrim içi olarak bulabilirsiniz:

ABD Klinik Çalışma Veri Tabanı

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



AB Klinik Araştırmalar Kaydı

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



Resmî Çalışma Başlığı: Nükseden-Tekrarlayan Multipl Sklerozun Tedavisi için BG00012 ve BIIB017'nin Etkililiğini ve Güvenliğini Değerlendirmek amacıyla 10 ila 17 Yaş Arası Pediatrik Gönüllülerde Randomize, Çift Kör, Çift Sağır, Plasebo Kontrollü, 3 Kollu, Paralel Gruplu Çalışma

Tecfidera, Plegridy veya bu çalışmanın sonuçları hakkında sorularınız varsa lütfen doktorunuzla veya çalışma araştırma merkezindeki personelle iletişime geçin.

Burada sunulan sonuçlar tek bir çalışma içindir. Doktorunuza danışmadan bu sonuçlara dayanarak tedavinizde değişiklik yapmamalısınız.

Bu çalışmanın destekleyicisi olan Biogen'in merkezi Cambridge, Massachusetts'te (ABD) bulunmaktadır.

Teşekkür ederiz!



Biogen.

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