

Wirkung und Sicherheitsprofil von VAY736 bei Patient*innen mit idiopathischer Lungenfibrose



Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmenden herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu idiopathischer Lungenfibrose, auch idiopathische pulmonale Fibrose (kurz IPF) genannt, teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmenden haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über **VAY736** (andere Bezeichnung: lanalumab) gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist wichtig, allen Studienteilnehmenden und der Öffentlichkeit Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen.

Wir möchten den Teilnehmenden damit zeigen, welchen wichtigen Beitrag sie für die medizinische Forschung leisten.

Informationen zur Studie

Studiencode: CVAY736X2207
Studienmedikament: VAY736
Auftraggeber: Novartis

Was war der vorrangige Zweck dieser Studie?

Im Rahmen dieser Studie sollten in erster Linie neue Erkenntnisse über die Wirkung und Sicherheit von VAY736 bei Patient*innen mit IPF gewonnen werden. Zu diesem Zweck wurden die Wirkungen von VAY736 mit einem Placebo verglichen, um festzustellen, ob Patient*innen nach der Behandlung mit VAY736 leichter atmen können.



Eine **idiopathische Lungenfibrose oder auch idiopathische pulmonale Fibrose (IPF)** ist eine chronische Erkrankung, die zu einer Vernarbung des Lungengewebes führt und bei der die Ursache nicht bekannt ist. Die Vernarbung oder Fibrose schreitet im Laufe der Zeit voran und erschwert das Atmen. Die IPF ist derzeit nicht heilbar. Es wird angenommen, dass bestimmte Zellen im Immunsystem möglicherweise überaktiv sind und bei der IPF eine Rolle spielen.



VAY736 ist ein Studienmedikament, das die Aktivität bestimmter Zellen im Immunsystem herabsetzen soll. Man geht davon aus, dass VAY736 Patient*innen mit IPF helfen kann, leichter zu atmen.

Placebo (Scheinmedikament) – sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos kann die tatsächliche Wirkung eines untersuchten Medikaments besser aufgezeigt werden.

Im Rahmen dieser Studie sollten in erster Linie die folgenden Fragen beantwortet werden:

- Konnten die Teilnehmenden nach einer etwa einjährigen Behandlung mit VAY736 leichter atmen?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmenden während der Studie auf?
Die Nachverfolgung der medizinischen Probleme ermöglichte es, mehr über das Sicherheitsprofil von VAY736 zu erfahren.



Wichtigste Ergebnisse: Bei den Teilnehmenden, die VAY736 erhielten, gab es im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, keine nennenswerte Veränderung im Hinblick darauf, wie leicht sie atmen konnten. Im Rahmen dieser Studie wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf VAY736 festgestellt.

Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im Dezember 2017 und endete im Februar 2022. Ursprünglich war geplant, dass die Teilnehmenden ca. 3 Jahre an der Studie teilnehmen.

Im Dezember 2020 entschieden die Wissenschaftler*innen, die Studienbehandlung vorzeitig zu beenden. Der Auftraggeber der Studie überprüfte die verfügbaren Daten und kam zu dem Schluss, dass VAY736 keine Wirkung auf die IPF hatte. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit der Behandlung.

Wer nahm an dieser Studie teil?



An dieser klinischen Studie nahmen insgesamt 29 Personen teil – 27 Männer und 2 Frauen. Die Teilnehmenden waren zwischen 47 und 79 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 69 Jahren.

Alle Teilnehmenden gaben ihre ethnische Herkunft als „Weiß“ an.

Alle Studienteilnehmenden litten an IPF und es war unwahrscheinlich, dass sie während der Studie eine Lungentransplantation benötigen würden.



Diese Studie wurde in Deutschland, Irland, Italien, Kanada, den USA und dem Vereinigten Königreich durchgeführt.

Unter [novctrd.com](https://www.novctrd.com) finden Sie weitere Informationen zu der Studie, zum Beispiel Informationen zu:

- den Teilnahmevoraussetzungen für diese klinische Studie
- den Gründen, weswegen die Teilnehmenden die Studie nicht abschlossen

Verwenden Sie den Studiencode **CVAY736X2207**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche Studienbehandlungen erhielten die Teilnehmenden?

Die Teilnehmenden wurden nach dem Zufallsprinzip einer der folgenden Behandlungsgruppen zugeteilt:



- **VAY736** – 300 mg
- **Placebo** (Scheinmedikament) – sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos kann die tatsächliche Wirkung eines untersuchten Medikaments besser aufgezeigt werden.

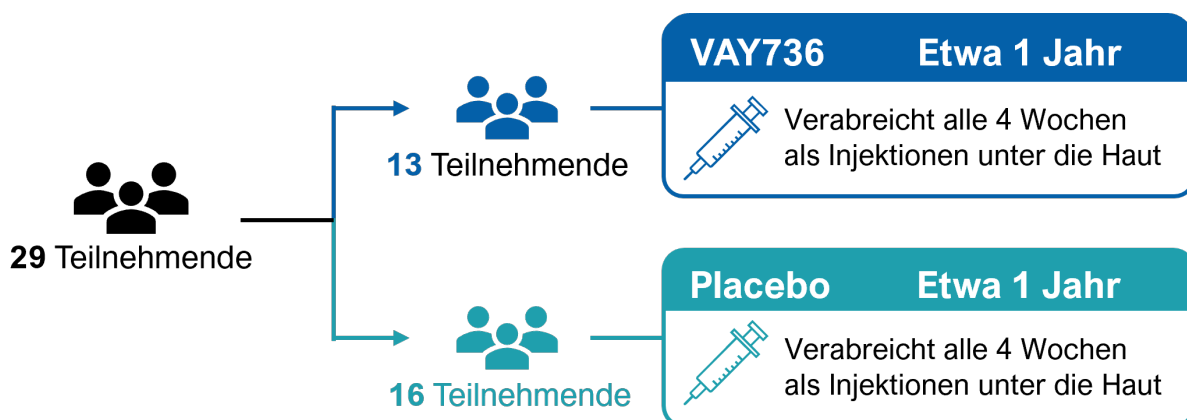
Die Teilnehmenden erhielten die ihnen zugeteilte Behandlung alle 4 Wochen als Spritze (Injektion) unter die Haut. Sie erhielten die Behandlung für 48 Wochen (etwa ein Jahr).

Mithilfe einer Computersoftware wurde den Patient*innen nach dem Zufallsprinzip eine Behandlung zugewiesen. Diese Vorgehensweise ermöglicht einen möglichst neutralen Vergleich der Ergebnisse.

Einige Teilnehmende erhielten zusätzlich zur Studienbehandlung entweder **Nintedanib** oder **Pirfenidon** zur Behandlung der IPF.

Weder die Teilnehmenden noch die Mitarbeitenden des Auftraggebers oder das Studienpersonal wussten, ob die einzelnen Teilnehmenden während der Studie VAY736 oder das Placebo erhielten. Einige Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da das Wissen darüber, welche Teilnehmenden welche Behandlung erhalten, die Studienergebnisse beeinflussen kann. Indem die beteiligten Personen nicht wissen, welche Behandlung die Teilnehmenden erhalten, können Verzerrungen der Ergebnisse vermieden werden.

Die unten stehende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmende den Behandlungen jeweils zugeteilt waren.



Von diesen 29 Teilnehmenden schloss nur etwas mehr als die Hälfte die zugeteilte Behandlung ab. Nähere Informationen finden Sie auf der englischsprachigen Internetseite [novctrd.com](https://www.novctrd.com). Verwenden Sie den Studiencode **CVAY736X2207**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?



Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Gesamtergebnisse dieser klinischen Studie, nicht auf die persönlichen Ergebnisse der einzelnen Teilnehmenden. Die Ergebnisse der einzelnen Teilnehmenden können sich von den Gesamtergebnissen unterscheiden und sind nicht in dieser Zusammenfassung aufgeführt.

Es bedarf vieler klinischer Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung insgesamt ein gutes Sicherheitsprofil aufweist und wirksam ist. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen.

Sprechen Sie stets mit einem Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer medizinischen Versorgung vornehmen.

Konnten die Teilnehmenden nach einer etwa einjährigen Behandlung mit VAY736 leichter atmen?



Nein. Bei den Teilnehmenden, die VAY736 erhielten, gab es im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, keine nennenswerte Veränderung im Hinblick darauf, wie leicht sie atmen konnten.

Um dies herauszufinden, wurde die sogenannte **forcierte Vitalkapazität (FVC)** der Teilnehmenden gemessen. Die IPF führt zu einer Vernarbung der Lunge und senkt die FVC der Patient*innen.

Was ist die FVC?

Die FVC gibt an, wie viele Milliliter (ml) Luft ausgeatmet werden können. Je **höher** der FVC-Wert ist, desto **leichter**

Konnten die Teilnehmenden leichter atmen?

VAY736

Die FVC der Teilnehmenden war nach etwa 1 Jahr Behandlung **39 ml höher**.



Placebo

Die FVC der Teilnehmenden war nach etwa 1 Jahr Behandlung **23 ml niedriger**.



Je **höher** der FVC-Wert ist, desto **leichter** kann eine Person atmen.

Auf der Grundlage früherer Untersuchungen wurde entschieden, dass ein Unterschied von **110 ml** zwischen den Teilnehmenden, die VAY736 erhielten, und den Teilnehmenden, die Placebo erhielten, statistisch bedeutsam wäre. Nach etwa 1 Jahr stellten die Wissenschaftler*innen fest, dass der Unterschied zwischen den Gruppen bei **63 ml** und damit bei weniger als 110 ml lag.

Man kam zu dem Schluss, dass VAY736 keine statistisch bedeutsame Wirkung auf die Atmung hatte.

Welche weiteren Erkenntnisse konnten gewonnen werden?

Hatte VAY736 Auswirkungen auf bestimmte Parameter der IPF?

Die Wissenschaftler*innen untersuchten auch bestimmte Parameter vor der Behandlung im Vergleich zu etwa 1 Jahr mit der Behandlung:

- Diffusionskapazität der Lunge (DLCO), ein Maß zur Beurteilung der Lungenfunktion
- Sauerstoffsättigung in Ruhe und bei körperlicher Aktivität
- 6-Minuten-Gehtest (6MWT), bei dem die Strecke, die die Teilnehmenden in 6 Minuten zurücklegen können, gemessen wird



Es wurde festgestellt, dass VAY736 im Vergleich zu Placebo keine bedeutsame Wirkung auf die DLCO und die Sauerstoffsättigung hatte. Beim 6MWT konnten einige Teilnehmende im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, etwas weiter gehen. Dieser Unterschied wurde jedoch als nicht statistisch bedeutsam eingestuft.

Hatte VAY736 Auswirkungen auf die Anzahl von Teilnehmenden, deren IPF sich deutlich verschlechterte?

Die Wissenschaftler*innen untersuchten bestimmte Parameter der IPF-Symptome der Teilnehmenden vor und nach der Behandlung, um festzustellen, ob diese sich verschlechterten:

- FVC
- DLCO
- 6MWT



Es wurde nachverfolgt, bei wie vielen Teilnehmenden sich mindestens einer dieser Parameter während der Studie erheblich verschlechterte. Dabei wurde festgestellt, dass VAY736 im Vergleich zu Placebo keine statistisch bedeutsame Wirkung auf die FVC, die DLCO und den 6MWT hatte.

Hatte VAY736 Auswirkungen darauf, wie viel Zeit ohne eine deutliche Verschlechterung der IPF der Teilnehmenden verging?

Es wurde nachverfolgt, wie lange es dauerte, bis Folgendes eintrat:

- Deutliche Verschlechterung der IPF-Symptome
- Tod infolge der IPF
- Tod aus anderer Ursache



Dabei wurde festgestellt, dass VAY736 im Vergleich zu Placebo keine bedeutsame Wirkung auf diese Zeitdauer hatte.

Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmenden während der Studie auf?

Medizinische Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet.

Während einer Studie werden **alle** unerwünschten Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt, unabhängig davon, ob diese möglicherweise durch das untersuchte Medikament hervorgerufen wurden oder **nicht**.

Es bedarf vieler Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung ein unerwünschtes Ereignis verursacht.

Ein unerwünschtes Ereignis:

- ist jedes **ungewollte Anzeichen oder Symptom**, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.
- gilt als **schwerwiegend**, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht, eine Versorgung des*der Teilnehmenden im Krankenhaus erforderlich macht oder zum Tod führt.

Unerwünschte Ereignisse **können** durch das Studienmedikament **verursacht sein oder auch nicht**.

In diesem Abschnitt sind die unerwünschten Ereignisse zusammengefasst, die ab dem Beginn der Studie bis etwa 2 Jahre nach Abschluss der Behandlung auftraten.



Bei den meisten Teilnehmenden (28 von 29) traten unerwünschte Ereignisse auf. 1 Teilnehmende*r, der/die Placebo erhielt, brach die Studie aufgrund eines unerwünschten Ereignisses ab. Bei 14 Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf, die schwerwiegend waren. 1 Teilnehmende*r, der/die VAY736 erhielt, verstarb infolge einer Verschlechterung der IPF. Die häufigsten unerwünschten Ereignisse waren Juckreiz an der Injektionsstelle und unerwarteter Gewichtsverlust. Im Rahmen dieser Studie wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf VAY736 festgestellt.

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

VAY736: Bei 5 von 13 Teilnehmenden bzw. 39 % trat ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf.

Placebo: Bei 9 von 16 Teilnehmenden bzw. 56 % trat ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf.

Die nachstehende Tabelle zeigt die schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, die **bei mindestens 2 Teilnehmenden** auftraten. Weitere schwerwiegende unerwünschte Ereignisse traten bei weniger Teilnehmenden auf.

| | VAY736 13 Teilnehmende | Placebo 16 Teilnehmende |
|--|---------------------------|----------------------------|
| Eine Art von Lungeninfektion Pneumonie | 0 % 0 von 13 | 19 % 3 von 16 |
| Herzinfarkt Myokardinfarkt | 8 % 1 von 13 | 6 % 1 von 16 |
| Verschlechterung der IPF Idiopathische Lungenfibrose | 8 % 1 von 13 | 6 % 1 von 16 |

1 Teilnehmende*r, der/die VAY736 erhielt, verstarb während dieser Studie infolge einer Verschlechterung der IPF.

Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

VAY736: Bei 13 von 13 Teilnehmenden bzw. 100 % trat ein unerwünschtes Ereignis auf.

Placebo: Bei 15 von 16 Teilnehmenden bzw. 94 % trat ein unerwünschtes Ereignis auf.

Die nachstehende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die **bei mindestens 5 Teilnehmenden** auftraten. Weitere unerwünschte Ereignisse traten bei weniger Teilnehmenden auf.

| | VAY736 13 Teilnehmende | Placebo 16 Teilnehmende |
|---|---------------------------|----------------------------|
| Juckreiz an der Injektionsstelle Juckreiz an der Injektionsstelle | 23 % 3 von 13 | 13 % 2 von 16 |
| Unerwarteter Gewichtsverlust Gewichtsabnahme | 8 % 1 von 13 | 25 % 4 von 16 |

Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Die Studie lieferte neue Erkenntnisse über die Wirkung und das Sicherheitsprofil von VAY736 bei Patienten mit IPF.

Es wurde festgestellt, dass es bei den Teilnehmenden, die VAY736 erhielten, im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, keine nennenswerte Veränderung in Bezug darauf gab, wie leicht sie atmen konnten. Es wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf VAY736 festgestellt.

Des Weiteren wurde festgestellt, dass VAY736 auf folgende Aspekte insgesamt keine bedeutsame Wirkung hatte:

- Bestimmte Parameter der IPF
- Die Anzahl von Teilnehmenden, deren IPF sich deutlich verschlechterte
- Wie viel Zeit ohne eine deutliche Verschlechterung der IPF der Teilnehmenden verging

Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen Studie. Andere Studien können zu anderen Ergebnissen kommen. Dies war eine von vielen Studien, die für ein Studienmedikament durchgeführt werden müssen. Mit dieser Art von Studie kann man die Sicherheit eines Studienmedikaments an einer kleinen Anzahl von Teilnehmenden prüfen.

VAY736 wird nicht weiter als mögliche Behandlungsform für IPF untersucht. Wenn weitere Studien zu VAY736 oder IPF geplant sind, werden diese auf den unten genannten öffentlichen Internetseiten aufgeführt.

Wo finde ich weitere Informationen über diese und zukünftige klinische Studien?

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf den folgenden englischsprachigen Internetseiten:

- novctrd.com – nach Studiencode **CVAY736X2207** suchen
- clinicaltrials.gov – nach dem Code **NCT03287414** suchen
- clinicaltrialsregister.eu/ctr-search – nach dem Code **2017-002667-17** suchen

Wenn weitere Studien geplant sind, werden diese auf den oben genannten öffentlichen Internetseiten aufgeführt. Geben Sie dort die Suchbegriffe **VAY736**, **ianalumab**, **idiopathic pulmonary fibrosis** oder **IPF** ein.

Vollständiger Studientitel:

Eine Teilnehmer-, Prüfarzt- und Sponsor-verblindete, randomisierte, placebokontrollierte, multizentrische Studie zur Untersuchung der Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von VAY736 bei Patient*innen mit idiopathischer Lungenfibrose



Wenn Sie an der Studie teilgenommen und **Fragen** zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an die Studienärzt*innen oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.



Novartis ist ein weltweit tätiges Gesundheitsunternehmen mit Sitz in der Schweiz, das Lösungen für die sich verändernden Bedürfnisse von Patient*innen auf der ganzen Welt anbietet.

1-888-669-6682 (USA)

+41-61-324 1111 (EU)

www.novartisclinicaltrials.com