

# Wirkung und Sicherheitsprofil von QBW251 bei Patient\*innen mit COPD



## Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmenden herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu chronisch obstruktiver Lungenerkrankung (englisch: Chronic Obstructive Pulmonary Disease, COPD) teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmenden haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über das Studienmedikament **QBW251**, auch Icenticaftor genannt, gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist uns wichtig, allen Studienteilnehmenden und anderen Interessierten 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: CQBW251B2202

Studienmedikament: QBW251

Auftraggeber: Novartis

Wenn Sie als Studienteilnehmende\*r Fragen zu den Ergebnissen dieser Studie haben, wenden Sie sich bitte an den\*die Studienärzt\*in oder die Mitarbeitenden am Studienzentrum.

## Was war der vorrangige Zweck dieser Studie?

---

Im Rahmen dieser Studie sollten neue Erkenntnisse über Wirkung und Sicherheitsprofil des Studienmedikaments QBW251 für Patient\*innen mit chronisch obstruktiver Lungenerkrankung (englisch: Chronic Obstructive Pulmonary Disease, COPD) gewonnen werden.



**COPD** ist eine langfristige Erkrankung der Lunge, die den Luftstrom in den Lungen blockiert und so das Atmen erschwert. Bei Menschen mit COPD verursachen Entzündung und Schleim eine Verengung der Atemwege und blockieren den Luftstrom.

**Entzündungen** sind eine Maßnahme des Immunsystems, um den Körper vor Krankheiten und Infektionen zu schützen. Zu starke Entzündungen können jedoch schädlich sein.



**QBW251** ist ein Studienmedikament, das bestimmte Lungenerkrankungen behandeln soll, darunter COPD. Man vermutet, dass es die Entzündung verringern und den Schleim verflüssigen kann, der die Atemwege blockiert.

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

- Konnte QBW251 ein Entzündungsanzeichen reduzieren?
- Welche unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden während dieser Studie auf? Ein unerwünschtes Ereignis ist ein Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.

## Wie lange dauerte diese Studie?

---



Die Studie begann im September 2020 und endete im September 2022. Die Teilnehmenden traten der Studie zu unterschiedlichen Zeitpunkten bei. Ursprünglich war geplant, dass die Teilnehmenden 4 Monate an der Studie teilnehmen. Dies umfasste die Zeit von Beginn der Behandlung bis zur letzten Kontaktaufnahme des Studienpersonals mit den Teilnehmenden.

Im September 2022 wurde **die Studie vorzeitig beendet**, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QBW251 bei Menschen mit COPD einzustellen. Die Entscheidung hatte geschäftliche Gründe und stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit des Studienmedikaments.

## Wer nahm an dieser Studie teil?



An dieser klinischen Studie nahmen insgesamt 54 Personen mit COPD teil – 27 Männer und 27 Frauen. Die Teilnehmenden waren zwischen 53 und 84 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 67 Jahren.

Alle 54 Teilnehmenden gaben als ethnische Zugehörigkeit weiß an.

Alle Teilnehmenden dieser Studie:

- Hatten einen COPD-Typ, der als chronische Bronchitis bezeichnet wird
- Wendeten auch die Standardtherapie für COPD an
- Hatten für mindestens 10 Jahre ungefähr eine Packung Zigaretten täglich geraucht



Diese Studie wurde in folgenden Ländern durchgeführt:

- **Österreich** | 12 Teilnehmende
- **Schweiz** | 8 Teilnehmende
- **Deutschland** | 30 Teilnehmende
- **Vereinigtes Königreich** | 4 Teilnehmende

## Welche Studienbehandlungen erhielten die Teilnehmenden?

Die Teilnehmenden wurden nach dem Zufallsprinzip einer der folgenden Behandlungen zugeordnet:



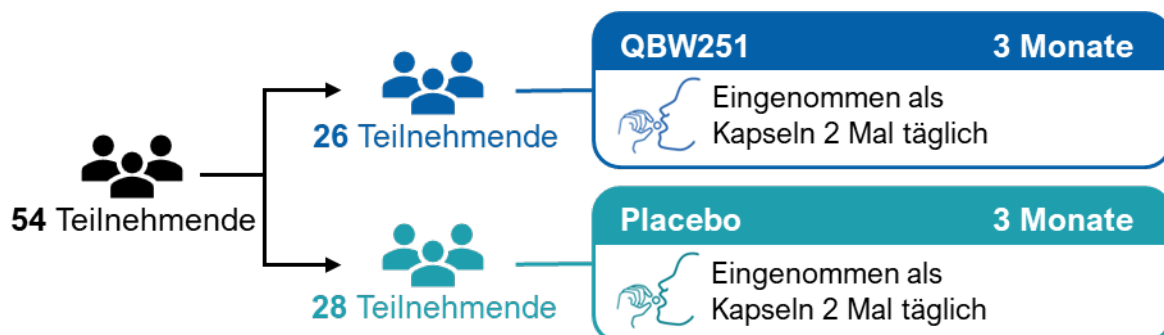
- **QBW251** – 300 Milligramm (mg)
- **Placebo** (Scheinmedikament) – sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos kann die tatsächliche Wirkung eines untersuchten Medikaments besser aufgezeigt werden.

Die Teilnehmenden nahmen die ihnen zugewiesene Behandlung 2 Mal täglich als Kapseln ein. Mithilfe einer Computersoftware wurde den Patient\*innen nach dem Zufallsprinzip eine Behandlung zugewiesen. Diese Vorgehensweise ermöglicht einen möglichst neutralen Vergleich der Ergebnisse.

Weder die Teilnehmenden noch das Forschungs- oder das Studienpersonal wussten, welche Behandlung die einzelnen Teilnehmenden während der Studie erhielten. Einige klinische Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da die Ergebnisse der Studie beeinflusst werden können, wenn bekannt ist, welche Behandlung die Teilnehmenden erhalten. Nicht zu wissen, welche Behandlung die Teilnehmenden erhalten, hilft dabei, die Ergebnisse neutral auszuwerten.

Alle Teilnehmenden wendeten weiter bestimmte Medikamente für COPD an, darunter ihre Standardtherapie.

Die untenstehende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmende den Behandlungen jeweils zugewiesen waren.



# Was waren die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie?

## Konnte QBW251 ein Entzündungsanzeichen reduzieren?



Da die Studie vorzeitig beendet wurde, konnte nicht ermittelt werden, ob QBW251 ein Entzündungsanzeichen im Vergleich zu Placebo reduzierte.

Um diese Frage zu beantworten, wurde ein Entzündungsanzeichen gemessen, das als **Fibrinogen bezeichnet wird**. Die Fibrinogenwerte im Blut der Teilnehmenden wurden vor, während und nach der Studienbehandlung gemessen. Ein niedrigerer Fibrinogenwert kann bedeuten, dass der Körper weniger von Entzündung betroffen ist.

Da die Studie vorzeitig abgebrochen wurde, konnten die Fibrinogenwerte der Teilnehmenden, die QBW251 bzw. Placebo nahmen, nicht verglichen werden.

### Was ist Fibrinogen?

Fibrinogen ist ein Eiweißstoff (Protein) im Blut. Die Fibrinogenwerte nehmen zu, wenn der Körper von Entzündung betroffen ist, u. a. die Lunge.

## Was waren weitere Ergebnisse?

### Konnte QBW251 andere Messwerte für COPD verändern?



Da die Studie vorzeitig beendet wurde, konnte nicht ermittelt werden, ob QBW251 andere Messwerte für COPD im Vergleich zu Placebo veränderte.

Während dieser Studie wurden folgende Parameter ebenfalls gemessen:

- Die Menge der schädlichen Bakterien im **Sputum** der Teilnehmenden wurde gezählt. Sputum ist aus den Lungen abgehusteter Schleim (Auswurf).
- Wie gut die Atmung der Teilnehmenden war
- Veränderungen der Atemwege der Teilnehmenden basierend auf bildgebenden Untersuchungen
- Bei wie vielen Teilnehmenden sich die COPD verschlimmerte, wann sie sich verschlimmerte und wie oft dies geschah
- Veränderungen der Antworten der Teilnehmenden auf Fragen in Bezug auf COPD-Symptome, Atmung und Lebensqualität

# Welche unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden während dieser Studie auf?

Während einer Studie werden **alle** unerwünschten Ereignisse von den Prüfärzt\*innen dokumentiert und nachverfolgt, selbst wenn sie der Meinung sind, dass die unerwünschten Ereignisse **in keinem Zusammenhang** mit den untersuchten Behandlungen stehen.

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

## Ein unerwünschtes Ereignis:

- ist jedes **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 während und bis zu 1 Monat nach Abschluss der Behandlung auftraten.



Im Rahmen dieser Studie wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf QBW251 festgestellt. Bei mehr als der Hälfte der Teilnehmenden (30 von 54 Teilnehmenden) traten unerwünschte Ereignisse auf. Bei 2 von 54 Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf, die schwerwiegend waren. Das häufigste unerwünschte Ereignis war Verschlimmerung der COPD.

## Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf?

Die folgenden Tabelle zeigt, wie viele Teilnehmende während der Studie unerwünschte Ereignisse hatten.

	QBW251 26 Teilnehmende	Placebo 28 Teilnehmende
Teilnehmende mit mindestens 1 unerwünschten Ereignis	69 % 18 von 26	43 % 12 von 28
Teilnehmende mit mindestens 1 schwerwiegenden unerwünschten Ereignis	8 % 2 von 26	0 % 0 von 28
Teilnehmende mit vorzeitigem Studienabbruch aufgrund eines unerwünschten Ereignisses	4 % 1 von 26	0 % 0 von 28

## Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten auf?

Die folgenden schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei 2 Teilnehmenden, die **QBW251** nahmen, auf:

- **Schneller Puls** | Supraventrikuläre Arrhythmie
- **Lungeninfektion** | Pneumonie
- **Lungenkrebs** | Bösartige Neubildung in der Lunge

Sonst traten bei keinen weiteren Teilnehmenden schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf und es kam nicht zu Todesfällen.

## Was waren die anderen unerwünschten Ergebnisse?

Die nachstehende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die bei mindestens 5 % der Teilnehmenden auftraten. Dies entspricht ungefähr **3 Teilnehmenden oder mehr**. Die nachfolgenden unerwünschten Ereignisse traten bei insgesamt 17 Teilnehmenden auf. Weitere unerwünschte Ereignisse traten bei weniger Teilnehmenden auf.

	<b>QBW251</b> 26 Teilnehmende	<b>Placebo</b> 28 Teilnehmende
<b>Verschlimmerung der COPD</b> Chronisch obstruktive Lungenerkrankung	15 % 4 von 26	11 % 3 von 28
<b>Durchfall</b>	15 % 4 von 26	0 % 0 von 28
<b>Gewebeveränderung in der Lunge</b> (pulmonale Raumforderung)	12 % 3 von 26	4 % 1 von 28
<b>Erkältung</b> Nasopharyngitis	12 % 3 von 26	4 % 1 von 28
<b>Covid-19</b>	4 % 1 von 26	7 % 2 von 28

## Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Diese Studie war darauf ausgelegt, neue Erkenntnisse über Wirkung und Sicherheitsprofil von QBW251 bei Patient\*innen mit COPD zu gewinnen. Die Studie wurde vorzeitig beendet, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QBW251 bei Menschen mit COPD einzustellen. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit des Studienmedikaments.

Da die Studie vorzeitig beendet wurde, konnte nicht ermittelt werden, ob QBW251:

- ein Entzündungsanzeichen im Vergleich zu Placebo reduzierte
- Auswirkungen auf andere Messwerte für COPD hatte

Im Rahmen dieser Studie wurden keine Sicherheitsbedenken in Bezug auf QBW251 festgestellt.

Dies war eine von vielen Studien, die für eine Arzneimittelzulassung durchgeführt werden müssen. Mit dieser Art von Studie kann man die Sicherheit eines Studienmedikaments an einer kleinen Anzahl von Teilnehmenden prüfen.

## 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](https://www.clinicaltrials.gov) – nach Studiencode **CQBW251B2202** suchen
- [clinicaltrials.gov](https://www.clinicaltrials.gov) – nach dem Code **NCT04268823** suchen
- [clinicaltrialsregister.eu/ctr-search](https://clinicaltrialsregister.eu/ctr-search) – nach dem Code **2019-000325-49** suchen

Derzeit sind keine weiteren klinischen Studien für QBW251 bei COPD geplant.

**Vollständiger Studientitel:**

Eine randomisierte, für Teilnehmende und Studienärzt\*innen verblindete, placebokontrollierte Parallelgruppenstudie zur Beurteilung des Wirkmechanismus von QBW251 bei Patient\*innen mit chronisch obstruktiver Lungenerkrankung (COPD)



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. Sprechen Sie stets mit einem\*r Ärzt\*in, bevor Sie Änderungen an Ihrer medizinischen Versorgung vornehmen.



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](http://www.novartisclinicaltrials.com)