

Zusammenfassung der Studienergebnisse

Auftraggeber: Novartis

Studienmedikament: Tropifexor (LJN452)

Studiencode: CLJN452X2201

Titel in einfacher Sprache: Eine Studie zur Untersuchung der Auswirkungen von LJN452 auf die Leber sowie seiner Sicherheit bei Teilnehmern mit primärer biliärer Cholangitis


Vielen Dank!



Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie mit dem Medikament Tropifexor, auch LJN452 genannt, teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass Wissenschaftler neue Erkenntnisse darüber gewinnen konnten, wie Tropifexor wirkt und wie sicher die Einnahme dieses Medikaments ist.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist uns ein Anliegen, allen Studienteilnehmern und interessierten Patienten Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen. Nach Studienende prüfte Novartis die Ergebnisse. Eine unabhängige Organisation hat diese Zusammenfassung der Studienergebnisse erstellt.

Wir hoffen, dass dies den Teilnehmern hilft, zu verstehen, welchen großen Beitrag sie für die medizinische Forschung leisten.

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

Hinweis: Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf der englischsprachigen Website, die auf der letzten Seite dieser Zusammenfassung aufgeführt ist.

Überblick über die Studie



Was war der Zweck dieser Studie?

Bevor ein Medikament für Patienten zugelassen werden kann, werden klinische Studien durchgeführt, um mehr über die Sicherheit und Wirkungsweise zu erfahren.

In dieser klinischen Studie untersuchte das Studienteam, wie sich das Medikament Tropifexor bei Teilnehmern mit der Lebererkrankung „primäre biliäre Cholangitis“ auf die Gesundheit der Leber auswirkt. Diese Erkrankung wird auch als PBC bezeichnet.

Das Studienteam konnte auch neue Erkenntnisse über die Sicherheit von Tropifexor bei diesen Teilnehmern gewinnen.



Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?

Die Teilnehmer erhielten entweder Tropifexor oder Placebo. Ein Placebo sieht genauso aus wie ein herkömmliches Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff.



Wer nahm an der Studie teil?

An dieser klinischen Studie nahmen 61 erwachsene Frauen und Männer mit PBC teil, deren Erkrankung zuvor bereits ohne Erfolg behandelt worden war.



Welche Fragestellungen sollten durch die Studie geklärt werden?

Die wichtigsten Fragen, die in dieser Studie beantwortet werden sollten, waren:

- Wie haben sich die Leberenzymwerte nach der Behandlung verändert?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

Die Nachverfolgung medizinischer Probleme der Teilnehmer half dabei, mehr über die Sicherheit von Tropifexor zu erfahren.



Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?

Das Studienteam kam zu folgenden Ergebnissen:

- Die Leberenzymwerte nahmen in allen Behandlungsgruppen ab. Höhere Dosen Tropifexor bewirkten im Vergleich zu Placebo eine stärkere Abnahme der Leberenzyme.
- Die meisten Teilnehmer hatten während dieser Studie medizinische Probleme, wovon jedoch keines schwerwiegend war. Das häufigste medizinische Problem war Juckreiz.

Weitere Informationen zu den Ergebnissen dieser Studie finden Sie weiter unten in dieser Zusammenfassung.

Warum war diese Studie notwendig?



Wissenschaftler sind auf der Suche nach einer besseren Behandlungsmöglichkeit für Patienten mit primärer biliärer Cholangitis (PBC). Bevor ein Medikament für Patienten zugelassen werden kann, werden klinische Studien durchgeführt, um mehr über die Sicherheit und Wirkungsweise zu erfahren. In dieser Studie wurde untersucht, wie sich das Studienmedikament Tropifexor auf die Gesundheit der Leber von Patienten mit PBC auswirkt. Das Studienteam wollte zudem mehr über die Sicherheit von Tropifexor erfahren.

PBC ist eine Erkrankung, bei der die Gallengänge in der Leber zerstört werden. Die Leber produziert Galle, eine Flüssigkeit, die dem Körper bei der Verdauung von Fetten hilft, indem sie diese aufspaltet. Wenn die Gallengänge die Galle nicht zum Darm transportieren können, sammelt sich die Galle in der Leber an und schädigt diese.

Es stehen mehrere Behandlungsmöglichkeiten für PBC zur Verfügung, jedoch helfen diese manchen Patienten möglicherweise nicht. In dieser Studie sollte Tropifexor als eine mögliche Behandlungsform untersucht werden. Es wurden bereits mehrere Studien zu Tropifexor an gesunden Menschen durchgeführt. In dieser Studie sollten die Auswirkungen von Tropifexor auf die Gesundheit der Leber bei Patienten mit PBC untersucht werden.

Tropifexor verhindert die Produktion neuer Gallensäuren und hilft dabei, überschüssige Gallensäuren aus der Leber abfließen zu lassen. Dies trägt dazu bei, dass die Ansammlung von Gallensäuren in der Leber verringert wird.

Was war der Zweck dieser Studie?



Die wichtigsten Fragen, die in dieser Studie beantwortet werden sollten, waren:

- Wie haben sich die Leberenzymwerte nach der Behandlung verändert?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?







In dieser Studie nahmen die Teilnehmer entweder Tropifexor oder Placebo ein. Die Angabe der Dosierung von Tropifexor erfolgte in Milligramm, abgekürzt als mg. Die Teilnehmer nahmen für eine Dauer von 28 Tagen einmal täglich eine der folgenden Behandlungen ein:

- 0,03 mg Tropifexor
- 0,06 mg Tropifexor
- 0,09 mg Tropifexor
- 0,15 mg Tropifexor
- Placebo

Das Studienmedikament wurde den Teilnehmern mithilfe eines Computerprogramms nach dem Zufallsprinzip zugeteilt. Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Die folgende Tabelle zeigt, welche Behandlung die Teilnehmer während der Studie erhielten.

	• 11 Teilnehmer	• 9 Teilnehmer	• 12 Teilnehmer	• 8 Teilnehmer	• 21 Teilnehmer
	• 0,03 mg Tropifexor	• 0,06 mg Tropifexor	• 0,09 mg Tropifexor	• 0,15 mg Tropifexor	• Placebo
	• Kapsel zum Schlucken				
	• 28 Tage (einmal täglich)				

Wer nahm an der Studie teil?



Zur Beantwortung der vorstehenden Fragen bat das Studienteam um die Mitwirkung von erwachsenen Patienten mit PBC, deren Erkrankung zuvor ohne Erfolg behandelt worden war. Die Teilnehmer waren im Durchschnitt etwa 56 Jahre alt. Alle Patienten in dieser Studie waren zu Beginn ihrer Teilnahme zwischen 31 und 80 Jahre alt.

An der Studie nahmen 61 Teilnehmer in 6 Ländern teil (Deutschland, Kanada, Polen, Russland, USA und Vereinigtes Königreich).

Um welche Art von Studie handelte es sich?

Im Rahmen dieser Studie wurde die Sicherheit des Studienmedikaments bei einer geringen Anzahl von Personen untersucht, die unterschiedliche Mengen des Medikaments einnahmen.

In dieser Studie wussten weder die Teilnehmer noch die Studienärzte, das Studienpersonal oder das Personal des Auftraggebers, welche Behandlung jeder Teilnehmer erhielt.

Einige Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da das Wissen darüber, welcher Teilnehmer welches Medikament erhält, die Studienergebnisse beeinflussen kann.

Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Was geschah während der Studie?

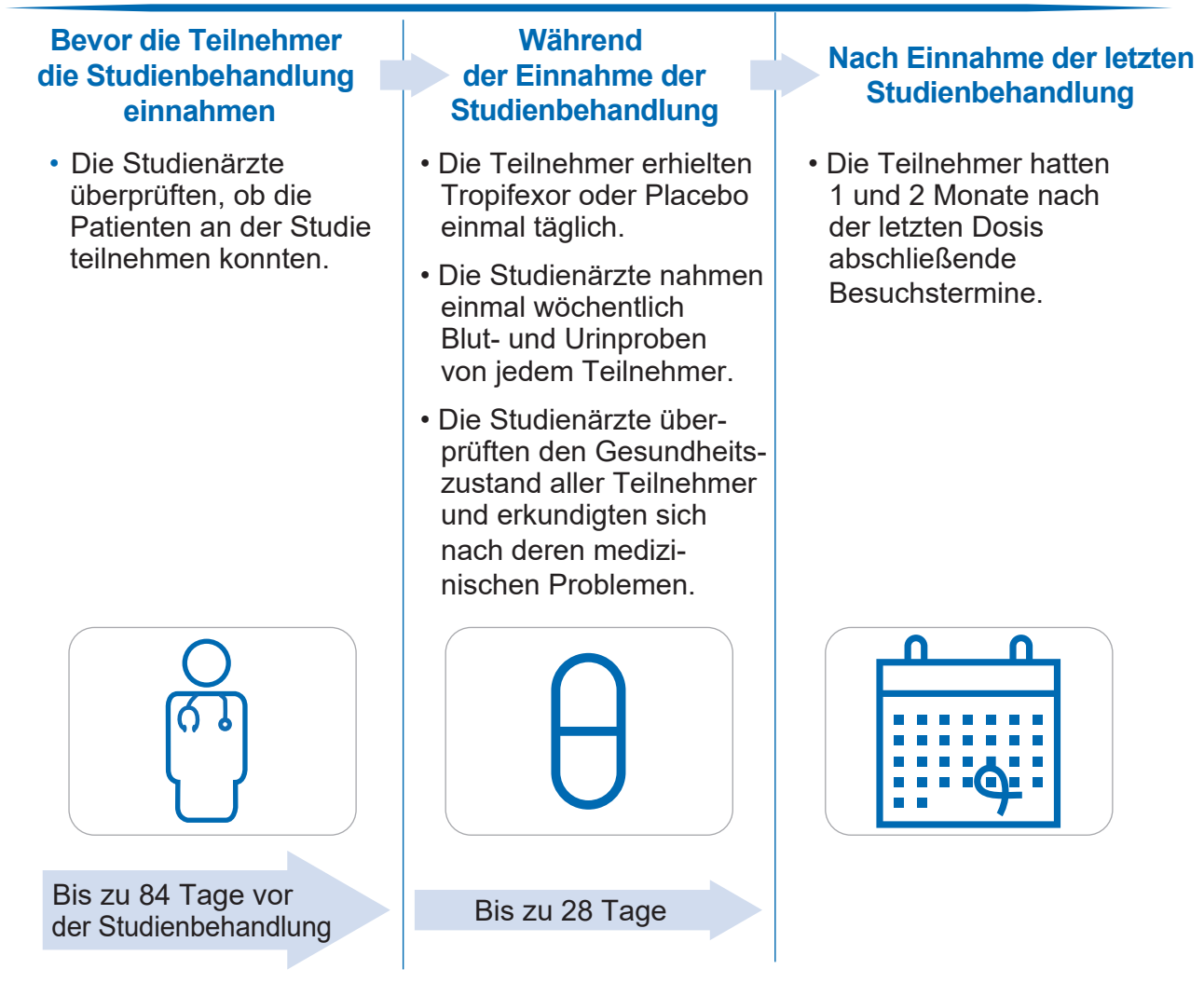


Jeder Teilnehmer sollte für eine Dauer von bis zu 24 Wochen an der Studie teilnehmen. Die Studie begann im September 2015 und endete im August 2018.



Diese Studie sollte 2 Teile umfassen. Im Juli 2018 entschied sich das Studienteam noch vor Beginn von Teil 2 dazu, die Studie vorzeitig zu beenden, da der Auftraggeber der Studie über genügend Daten verfügte, um zu verstehen, wie Tropifexor bei Menschen mit PBC wirkt. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit der Behandlung.

Die nachstehende Grafik verdeutlicht den Ablauf der Studie.



Welche Erkenntnisse konnten aus den Studienergebnissen gewonnen werden?



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

Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen. Sprechen Sie stets mit einem Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer Behandlung vornehmen.

Wie haben sich die Leberenzymwerte nach der Behandlung verändert?



Das Studienteam stellte fest, dass höhere Dosen Tropifexor die Leberenzyme der Teilnehmer stärker senkten als Placebo.

Um diese Frage zu beantworten, haben die Studienärzte die Werte eines Leberenzyms namens Gamma-Glutamyl-Transferase, auch GGT genannt, gemessen. Enzyme werden in Zellen gebildet und helfen dabei, chemische Reaktionen im Körper zu beschleunigen. In dieser Studie lag das Augenmerk des Studienteams auf dem GGT-Wert, da dieser anzeigt, wie gut die Galle aus der Leber fließt. In der Regel ist die GGT-Menge im Blut bei Menschen mit Lebererkrankungen höher. Das Studienteam wollte erfahren, ob die GGT-Menge bei den Teilnehmern, die Tropifexor einnahmen, stärker abnahm als bei den Teilnehmern, die Placebo erhielten.

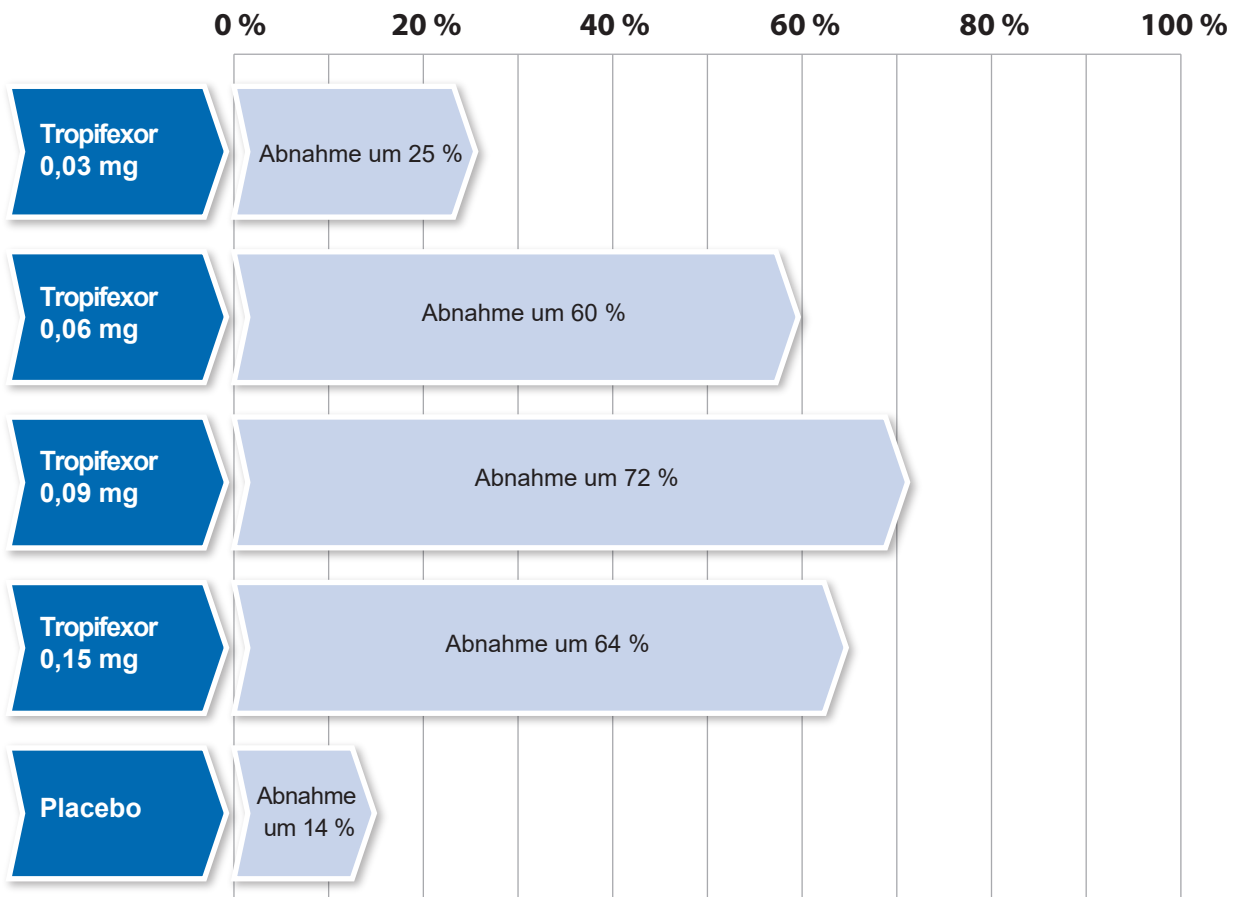
Es stellte fest, dass 28 Tage nach der Studienbehandlung:

- die Teilnehmer in jeder Behandlungsgruppe einen verringerten GGT-Wert hatten.
- die Teilnehmer, die 0,06 mg, 0,09 mg oder 0,15 mg Tropifexor einnahmen, eine stärkere Abnahme des GGT-Werts hatten als die Teilnehmer, die Placebo einnahmen.
- der Unterschied in Bezug auf die GGT-Abnahme zwischen den Teilnehmern, die 0,03 mg Tropifexor einnahmen und denjenigen, die Placebo erhielten, geringfügiger war. Der Unterschied war jedoch zu gering, um sagen zu können, dass 0,03 mg Tropifexor den GGT-Wert stärker senkte als Placebo.

Das Studienteam schlussfolgerte, dass höhere Dosen Tropifexor den GGT-Wert der Teilnehmer stärker senkten als Placebo.

Das nachstehende Diagramm verdeutlicht die Abnahme der durchschnittlichen GGT-Werte in jeder Behandlungsgruppe nach 28 Behandlungstagen.

Prozentuale Abnahme der durchschnittlichen GGT-Werte nach 28 Behandlungstagen



Welche medizinischen Probleme traten im Rahmen der Studie auf?

Medizinische Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet. Ein unerwünschtes Ereignis ist ein ungewolltes Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmern während einer Studie auftritt.

Ein unerwünschtes Ereignis wird als „schwerwiegend“ angesehen, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht oder eine Versorgung des Teilnehmers im Krankenhaus erforderlich macht.

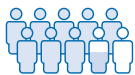
Unerwünschte Ereignisse können durch das Studienmedikament verursacht worden sein oder auch nicht. Es bedarf vieler Untersuchungen, um herauszufinden, ob ein Studienmedikament ein unerwünschtes Ereignis verursacht. Während einer Studie werden alle unerwünschten Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt, unabhängig davon, ob diese möglicherweise durch das Studienmedikament hervorgerufen wurden oder nicht.

In diesem Abschnitt sind die unerwünschten Ereignisse, die während dieser Studie auftraten, zusammengefasst.



Die meisten Teilnehmer hatten während dieser Studie medizinische Probleme, wovon jedoch keines schwerwiegend war. Das häufigste medizinische Problem war Juckreiz.

Bei wie vielen Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf?



- Bei 85,2 % der Teilnehmer traten unerwünschte Ereignisse auf, nämlich bei 52 von 61 Teilnehmern.



- Bei keinem Teilnehmer traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf.



- 4,9 % der Teilnehmer brachen die Behandlung aufgrund unerwünschter Ereignisse ab, nämlich 3 von 61 Teilnehmern.

Was waren die häufigsten schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse?

Bei keinem Teilnehmer traten während dieser Studie schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf und es verstarb kein Teilnehmer aufgrund schwerwiegender unerwünschter Ereignisse.

Was waren die häufigsten unerwünschten Ereignisse?

Das häufigste unerwünschte Ereignis in dieser Studie war Juckreiz.

Die nachstehend aufgeführten unerwünschten Ereignisse traten bei mehr als 2 Teilnehmern während der Studie auf. Es gab noch weitere unerwünschte Ereignisse, von denen jedoch weniger Teilnehmer betroffen waren.

Häufigste unerwünschte Ereignisse in dieser Studie

	0,03 mg Tropifexor (von 11 Teilnehmern)	0,06 mg Tropifexor (von 9 Teilnehmern)	0,09 mg Tropifexor (von 12 Teilnehmern)	0,15 mg Tropifexor (von 8 Teilnehmern)	Placebo (von 21 Teilnehmern)
Juckreiz	27,3 % (3)	66,7 % (6)	41,7 % (5)	87,5 % (7)	28,6 % (6)
Übelkeit	9,1 % (1)	11,1 % (1)	16,7 % (2)	0,0 % (0)	14,3 % (3)
Kopfschmerzen	0,0 % (0)	0,0 % (0)	16,7 % (2)	12,5 % (1)	14,3 % (3)
Schmerzen im Oberbauch	9,1 % (1)	0,0 % (0)	8,3 % (1)	0,0 % (0)	14,3 % (3)
Verdauungs- störungen	9,1 % (1)	22,2 % (2)	0,0 % (0)	12,5 % (1)	0,0 % (0)
Erkältung	18,2 % (2)	0,0 % (0)	8,3 % (1)	0,0 % (0)	4,8 % (1)
Appetitverlust	0,0 % (0)	0,0 % (0)	0,0 % (0)	12,5 % (1)	9,5 % (2)
Müdigkeit	0,0 % (0)	0,0 % (0)	8,3 % (1)	12,5 % (1)	4,8 % (1)
Einschlaf- schwierigkeiten	9,1 % (1)	0,0 % (0)	8,3 % (1)	12,5 % (1)	0,0 % (0)
Hautausschlag	9,1 % (1)	0,0 % (0)	0,0 % (0)	12,5 % (1)	4,8 % (1)
Schlafstörungen	9,1 % (1)	0,0 % (0)	0,0 % (0)	12,5 % (1)	4,8 % (1)
Erbrechen	9,1 % (1)	0,0 % (0)	0,0 % (0)	0,0 % (0)	9,5 % (2)

Weitere Informationen zu den unerwünschten Ereignissen in dieser Studie finden Sie in der wissenschaftlichen Zusammenfassung auf der englischsprachigen Website, die auf der letzten Seite dieser Zusammenfassung aufgeführt ist.

Inwiefern war diese Studie für Patienten und Wissenschaftler hilfreich?

Die in dieser Zusammenfassung dargestellten Informationen halfen Wissenschaftlern dabei, neue Erkenntnisse über die Auswirkungen von LFN452 auf die Gesundheit der Leber bei Patienten mit PBC zu gewinnen. Durch die Informationen konnte zudem mehr über die Sicherheit von Tropifexor erfahren werden.

Es sind weitere Studien erforderlich, um herauszufinden, welche Therapien bei Patienten mit PBC eingesetzt werden können. Diese Zusammenfassung zeigt lediglich die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen.

Wo finde ich weitere Informationen über diese Studie?



Nähere Informationen zu den Ergebnissen dieser klinischen Studie finden Sie in der wissenschaftlichen Zusammenfassung der Ergebnisse auf der englischsprachigen Website „Novartis Clinical Trial Results Database“.

- Rufen Sie die Website www.novctrd.com auf.
- Klicken Sie oben rechts auf der Seite auf „**Clinical trial results and trial summary for patients**“ [Studienergebnisse und Zusammenfassungen für Patienten].
- Akzeptieren Sie die Nutzungsbedingungen und klicken Sie unten links auf der Seite auf „**Search by study number**“ [Nach Studiencode suchen].
- Geben Sie „**CLJN452X2201**“ in das Suchfeld ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].

Wenn Sie die Website in einer anderen Sprache als Englisch anzeigen möchten, können Sie oben rechts auf der Seite auf die Schaltfläche „Google Translate“ klicken.

Wenn Sie an der Studie teilgenommen und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an den Studienarzt oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums. Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf den folgenden englischsprachigen Websites.

- www.clinicaltrials.gov Geben Sie nach dem Aufrufen der Website „**CLJN452X2201**“ in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].

Wenn Sie nach dem Studientitel suchen möchten, verwenden Sie bitte den nachfolgenden vollständigen Studientitel in englischer Sprache.

- www.clinicaltrialsregister.eu Klicken Sie nach dem Aufrufen der Website auf „**Home & Search**“ [Startseite und Suche], geben Sie „**2015-001590-41**“ in das Suchfeld ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].

Vollständiger Studientitel: Eine mehrteilige, randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Studie zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Tropifexor (LJN452) bei Patienten mit primärer biliärer Cholangitis [englischer Studientitel: A multi-part, randomized, double-blind, placebo-controlled study to assess the safety, tolerability and efficacy of tropifexor (LJN452) in patients with Primary Biliary Cholangitis]

Studiencode: CLJN452X2201

Vielen Dank!

Als Teilnehmer an einer klinischen Studie gehören Sie zu einer großen Gemeinschaft von Patienten weltweit. Sie ermöglichen es Wissenschaftlern, wichtige medizinische Fragestellungen zu beantworten und neue Behandlungen zu erproben. Studienteilnehmer leisten einen unschätzbaren Beitrag zur medizinischen Forschung und wir möchten allen Studienteilnehmern für ihren enormen Einsatz danken.



+1-888-669-6682 (USA) • +41-61-324-1111 (EU)

www.novartisclinicaltrials.com