

Eine klinische Verlängerungsstudie zur weiteren Untersuchung der Sicherheit des Studienmedikaments QCC374 bei Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH)



Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu dem Medikament **QCC374** teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über die Sicherheit von QCC374 gewonnen werden konnten.

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

Wir möchten den Teilnehmern damit zeigen, welch großen Beitrag sie für die medizinische Forschung leisten.

Informationen zur Studie

Studiencode:
CQCC374X2201E1

Studienmedikament: QCC374

Auftraggeber: Novartis

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf der englischsprachigen Website, die auf den Seiten 9–10 dieser Zusammenfassung aufgeführt sind.



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

Überblick über die Studie

Was war der Zweck dieser Studie?

Mehr dazu auf [Seite 3](#)



Im Rahmen dieser klinischen Verlängerungsstudie wurde die Sicherheit des Studienmedikaments QCC374 bei Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH) weiter untersucht. Die Studie diente außerdem der Untersuchung der Wirkung des Studienmedikaments QCC374.

In dieser Studie sollte vor allem die folgende Fragestellung untersucht werden:

- Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?
Die Nachverfolgung der gesundheitlichen Probleme ermöglichte es, mehr über die Sicherheit von QCC374 zu erfahren.

Wer nahm an dieser Studie teil?

Mehr dazu auf [Seite 3](#)



- An dieser Studie nahmen 5 Frauen mit PAH teil.
- Alle Teilnehmer hatten bereits an einer früheren klinischen Studie zu QCC374 teilgenommen.

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?

Mehr dazu auf [Seite 4](#)

Alle Teilnehmer atmeten QCC374 mit einem **Pulverinhalator** ein.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam diese Studie?

Mehr dazu auf [Seite 6](#)



Es haben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben.

Neben den wesentlichen Ergebnissen konnten noch weitere Erkenntnisse gewonnen werden.

Mehr dazu auf [Seite 8](#)

Was war der Zweck dieser Studie?

Es wird nach einer besseren Möglichkeit zur Behandlung von Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH) gesucht. **PAH** ist eine seltene Erkrankung, die zu Bluthochdruck in der Lunge führt. Bei Patienten mit PAH kommt es durch eine Verengung kleiner Blutgefäße, sogenannter Arterien, zu Bluthochdruck. Je höher der Blutdruck wird, desto mehr muss das Herz arbeiten, um Blut in die Lunge zu pumpen.

Zu den Symptomen von PAH gehören:

- Müdigkeit
- Atembeschwerden
- Schwindel
- Benommenheit oder kurzzeitige Bewusstlosigkeit

Die PAH-Symptome verschlimmern sich häufig im Laufe der Zeit und können lebensbedrohlich werden. PAH kann nicht geheilt werden. Es gibt jedoch Medikamente, mit denen die Symptome behandelt werden können.

Das Studienmedikament **QCC374** wird direkt in die Lunge eingeatmet, damit die Arterien geöffnet und der Blutdruck gesenkt werden kann. Dadurch kann die Belastung für das Herz verringert werden. Bevor ein Medikament für die Behandlung von Patienten zugelassen werden kann, werden viele klinische Studien durchgeführt, um herauszufinden, wie sicher das Medikament ist und wie es wirkt.

Im Rahmen dieser Studie sollten folgende Fragestellungen untersucht werden:

- Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?
- Wie weit konnten die Teilnehmer nach der Behandlung mit QCC374 innerhalb von 6 Minuten gehen?
- Wie gut konnte das Herz der Teilnehmer Blut in die Lunge pumpen?
- Welche Menge QCC374 gelangte wie schnell ins Blut der Teilnehmer?

Wer nahm an dieser Studie teil?

An dieser Studie nahmen 5 Frauen im Alter von 37 bis 65 Jahren teil. Der Altersdurchschnitt lag bei 47 Jahren.

Alle Teilnehmer dieser Studie litten an PAH.

Bei der Studie handelte es sich um eine Verlängerungsstudie. Das bedeutet, dass Teilnehmer an einer früheren Studie zu QCC374 die Möglichkeit hatten, auch an dieser Verlängerungsstudie zur weiteren Untersuchung von QCC374 teilzunehmen.

Diese Studie wurde in Deutschland, in den USA und im Vereinigten Königreich durchgeführt.



Weitere Informationen zu den Ein- und Ausschlusskriterien für diese klinische Studie sowie zu den Teilnehmern dieser Studie finden Sie unter novctrd.com. Verwenden Sie den Studiencode **CQCC374X2201E1**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?

Alle Teilnehmer atmeten QCC374 mit einem Pulverinhalator ein. Jeder Teilnehmer erhielt eine unterschiedliche Dosis. Die jeweilige Dosis hing davon ab, wie der Körper auf QCC374 reagierte.

Die Teilnehmer, die in der früheren Studie QCC374 erhalten hatten, erhielten dieselbe Dosis QCC374.

Die Teilnehmer, die in der früheren Studie Placebo erhalten hatten, erhielten in dieser Studie zunächst eine niedrige Dosis QCC374. Ein Placebo (Scheinmedikament) sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Über einen Zeitraum von 2 Wochen konnte die Dosis auf eine mittlere Dosis und anschließend auf eine hohe Dosis erhöht werden. Für die restliche Behandlungsdauer erhielten die Teilnehmer die höchste Dosis, die sie ohne größere Probleme vertragen konnten. Die Dosis der Teilnehmer konnte je nach Bedarf angepasst werden.

Alle Teilnehmer und das Studienpersonal wussten, welche Behandlung jeder Teilnehmer erhielt.

Was geschah während der Studie?

Die Studie begann im Februar 2018. Die Teilnehmer traten der Studie zu unterschiedlichen Zeitpunkten bei.

Die Studie wurde im November 2018 vorzeitig beendet, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QCC374 bei Patienten mit PAH einzustellen.

Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit der Behandlung.

Ursprünglich war geplant, dass die Teilnehmer QCC374 für eine Dauer von 720 Tagen bzw. ungefähr 2 Jahren erhalten. Da die Studie vorzeitig beendet wurde, lag die Dauer der Behandlung mit QCC374 zwischen 14 und 220 Tagen.

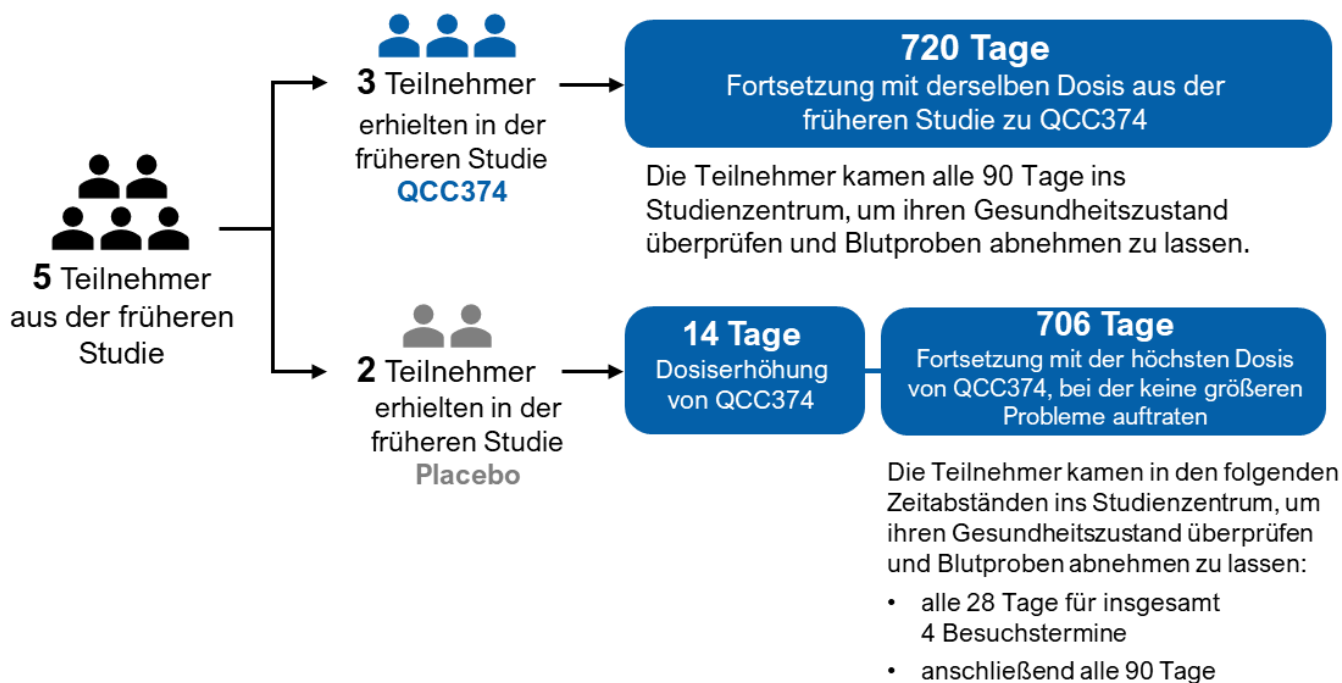
Aufbau der Studie:

Vor der Behandlung

- Alle Teilnehmer hatten bereits an einer früheren Studie zu QCC374 teilgenommen.
- Die Gesundheitsinformationen der Teilnehmer wurden aus der früheren Studie übernommen, unter anderem die zurückgelegte Gehstrecke der Teilnehmer innerhalb von 6 Minuten und wie gut das Herz Blut in die Lunge pumpen konnte.

Während der Behandlung

Die geplante Dauer der Studie betrug 720 Tage bzw. ungefähr 2 Jahre.



Nach der Behandlung

- Die Teilnehmer kamen 30 Tage nach ihrer letzten Dosis zu einem abschließenden Besuchstermin ins Studienzentrum, damit ihr Gesundheitszustand überprüft werden konnte.
- Während dieses Besuchstermins wurde auch gemessen, wie weit die Teilnehmer innerhalb von 6 Minuten gehen konnten und wie gut das Herz Blut in die Lunge pumpen konnte.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?



Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Gesamtergebnisse dieser klinischen Studie, nicht auf die persönlichen Ergebnisse einzelner Teilnehmer. Die persönlichen Ergebnisse 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 sicher und wirksam ist. Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf eine einzelne klinische Studie. Auf Basis der Ergebnisse dieser klinischen Studie sollten keine Entscheidungen über Ihre medizinische Versorgung getroffen werden. Sprechen Sie stets mit einer Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer medizinischen Versorgung vornehmen.

Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

Gesundheitliche Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als **unerwünschte Ereignisse** bezeichnet. Bei der Prüfung des Gesundheitszustands der Teilnehmer während der Studie wurde ebenfalls geprüft, ob unerwünschte Ereignisse aufgetreten waren. Auch die Teilnehmer selbst meldeten unerwünschte Ereignisse.

Es bedarf vieler Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung ein unerwünschtes Ereignis verursacht. Während einer Studie werden alle unerwünschten Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt, unabhängig davon, ob diese möglicherweise durch das untersuchte Medikament hervorgerufen wurden oder nicht.

Was ist ein unerwünschtes Ereignis?




- Ein **unerwünschtes Ereignis** ist jedes ungewollte Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmern während einer Studie auftritt.
- Als **schwerwiegend** bezeichnet man unerwünschte Ereignisse, wenn sie lebensbedrohlich sind, anhaltende Probleme verursachen oder eine Versorgung des Teilnehmers im Krankenhaus erforderlich machen.
- Unerwünschte Ereignisse **können durch das untersuchte Medikament verursacht worden sein oder auch nicht**.



Es haben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben. Die häufigsten unerwünschten Ereignisse waren Kopfschmerzen und Erkältung. Bei einem Teilnehmer trat ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf. Dabei handelte es sich um eine Verschlechterung der PAH.

Bei der Prüfung des Gesundheitszustands der Teilnehmer während der Besuchstermine im Studienzentrum wurde ebenfalls geprüft, ob unerwünschte Ereignisse aufgetreten waren. Auch die Teilnehmer selbst meldeten unerwünschte Ereignisse.

Unerwünschte Ereignisse während dieser Studie

Teilnehmer, auf die Folgendes zutraf:	QCC374 (von 5 Teilnehmern)
Unerwünschte Ereignisse	 60 % (3)
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse	 20 % (1)
Vorzeitige Beendigung der Studienteilnahme aufgrund eines schwerwiegenden unerwünschten Ereignisses	 20 % (1)

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern während dieser Studie auf?

Bei einem Teilnehmer trat während der Studie ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf.

- Dabei handelte es sich um eine Verschlechterung der PAH.

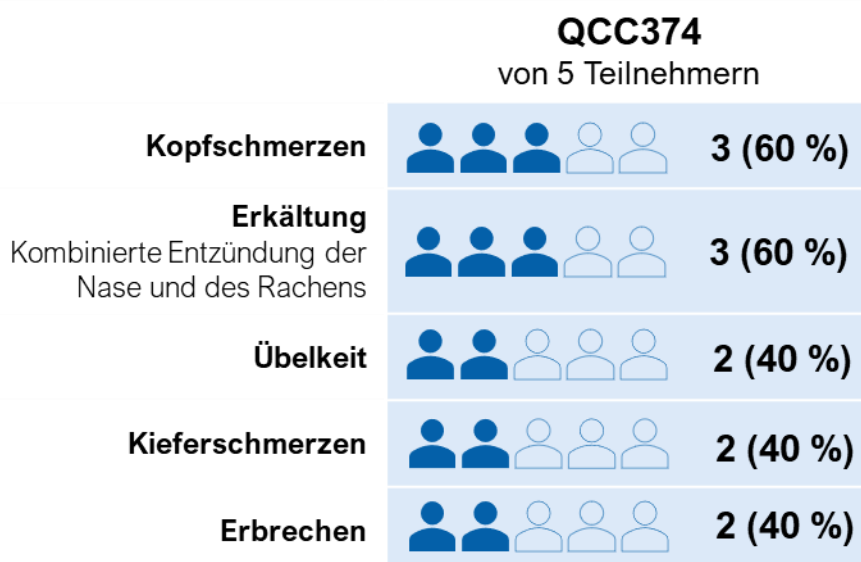
Der Teilnehmer beendete die Studienteilnahme aufgrund dieses schwerwiegenden unerwünschten Ereignisses frühzeitig.

Keine weiteren Teilnehmer berichteten während dieser Studie über schwerwiegende unerwünschte Ereignisse und kein Teilnehmer verstarb.

Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern während dieser Studie auf?

Einige Teilnehmer berichteten über unerwünschte Ereignisse, die nicht schwerwiegend waren. In diesem Abschnitt werden die unerwünschten Ereignisse aufgeführt, die bei **mindestens 2 Teilnehmern** auftraten. Es gab noch weitere unerwünschte Ereignisse, die jedoch nur von jeweils einem Teilnehmer berichtet wurden.

Häufigste unerwünschte Ereignisse (nach Art)



Weitere Informationen über die unerwünschten Ereignisse, die von Teilnehmern im Rahmen dieser Studie berichtet wurden, finden Sie unter novctrd.com. Verwenden Sie den Studiencode **CQCC374X2201E1**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche weiteren Erkenntnisse konnten gewonnen werden?

Da die Studie vorzeitig beendet wurde, wurden zu wenige Teilnehmer untersucht, um feststellen zu können, ob QCC374 eine bedeutende Wirkung auf die folgenden zwei Messgrößen hatte:

- Wie weit die Teilnehmer innerhalb von 6 Minuten gehen konnten
- Wie gut das Herz der Teilnehmer Blut in die Lunge pumpen konnte

Es konnte außerdem nicht festgestellt werden, welche Menge QCC374 wie schnell ins Blut der Teilnehmer gelangte.

Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Diese Studie hat neue Erkenntnisse über die Sicherheit von QCC374 geliefert. Es haben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben.

Da die Studie vorzeitig beendet wurde, wurden zu wenige Studienteilnehmer untersucht, um eine endgültige Aussage über die Wirkung von QCC374 bei PAH zu treffen. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit der Behandlung.



Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen klinischen Studie. Eine einzelne klinische Studie kann kein vollständiges Bild über Nutzen und Risiken des untersuchten Medikaments vermitteln. Es müssen die Ergebnisse vieler Studien analysiert werden, um herauszufinden, welche Therapien bei Patienten mit PAH angewendet werden können. Die vorliegende Zusammenfassung zeigt ausschließlich die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen.

Wo finde ich weitere Informationen zu dieser und zu zukünftigen klinischen Studien?



Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Ergebnisse einer einzelnen Studie.

Detaillierte Ergebnisse und nähere Informationen zu dieser klinischen Studie finden Sie auf der englischsprachigen Website „Novartis Clinical Trial Results Database“:

1. Rufen Sie die Website [novctrd.com](https://www.novartis.com/clinical-trial-results) auf.
2. Klicken Sie oben rechts auf der Seite auf „**Clinical trial results and trial summary for patients**“ [Studienergebnisse und Zusammenfassungen für Patienten].

3. Lesen Sie sich den Text auf der Seite durch, indem Sie nach unten scrollen.
Klicken Sie anschließend auf „**I accept**“ [Akzeptieren], um der Nutzung der Informationen und der Website zuzustimmen.
4. Wählen Sie unten links auf der Seite „**Search by study number**“ [Nach Studiencode suchen] aus.
5. Geben Sie „**CQCC374X2201E1**“ 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 dieser Studie teilgenommen und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an den Studienarzt oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Diese Studie wurde auf den folgenden Websites registriert:

- ClinicalTrials.gov – <https://clinicaltrials.gov/>

Geben Sie „**CQCC374X2201E1**“ in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein, um nach dieser Studie zu suchen.

Vollständiger Studientitel:

Unverblindete, multizentrische Langzeitverlängerungsstudie zur Bewertung der Sicherheit und Verträglichkeit von QCC374 bei Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH)

Vielen Dank!

Novartis möchte sich bei allen Studienteilnehmern bedanken, die diese klinische Studie ermöglicht haben. Durch den Einsatz der Studienteilnehmer konnten wichtige medizinische Fragestellungen beantwortet und Erkenntnisse über eine mögliche medizinische Behandlung gewonnen werden. Es bedarf vieler freiwilliger Teilnehmer und vieler klinischer Studien, um Fortschritte in der medizinischen Forschung zu erzielen.



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

+1-888-669-6682 (USA)

+41-61-324-1111 (EU)

www.novartisclinicaltrials.com