

Sicherheitsprofil von ACZ885 und dessen Wirkung auf Schmerzen bei Kindern und jungen Erwachsenen mit Sichelzellerkrankheit



Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu dem Medikament **ACZ885** (**Canakinumab**) teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über die Wirkung und das Sicherheitsprofil von ACZ885 gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist wichtig, allen Studienteilnehmern und interessierten Patienten Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen.

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

Informationen zur Studie

Studiencode: CACZ885X2206
Studienmedikament: ACZ885
(Canakinumab)
Auftraggeber: Novartis

Überblick über die Studie

Was war der Zweck dieser klinischen Studie?

Mehr dazu auf [Seite 3](#)



Diese Studie wurde zu folgendem Zweck durchgeführt:

- Es sollte untersucht werden, ob ACZ885 Schmerzen von Kindern und jungen Erwachsenen mit Sichelzellerkrankung (SZK) lindern kann.
- Es sollten neue Erkenntnisse über das Sicherheitsprofil von ACZ885 gewonnen werden.

Wer nahm an dieser Studie teil?

Mehr dazu auf [Seite 4](#)



- In diese klinische Studie wurden 49 männliche und weibliche Teilnehmer eingeschlossen.
- Alle Teilnehmer waren zwischen 8 und 20 Jahren alt und hatten eine SZK, die regelmäßig Schmerzen verursachte.

Welche Studienbehandlungen erhielten die Teilnehmer?

Mehr dazu auf den [Seiten 4-5](#)



Jeder Teilnehmer wurde mindestens einer der folgenden Behandlungen zugewiesen:

- ACZ885
- 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 Teilnehmer erhielten die Studienbehandlung in Form von Injektionen.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?

Mehr dazu auf den [Seiten 6-9](#)



- Alle Teilnehmer dieser Studie hatten nach 12 Wochen etwas weniger Schmerzen. Die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, berichteten von vergleichbar starken Schmerzen wie die Teilnehmer, die Placebo erhielten.
- Bei den meisten Teilnehmern traten gesundheitliche Probleme auf, wovon einige schwerwiegend waren. Die Anzahl der Teilnehmer mit gesundheitlichen Problemen war in der ACZ885-Gruppe und der Placebo-Gruppe vergleichbar. Viele dieser gesundheitlichen Probleme treten bei Menschen mit SZK häufig auf, wie etwa Schmerzen durch eine Sichelzellerkrankung.

Weitere Ergebnisse dieser Studie auf [Seite 10](#)



Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf den englischsprachigen Internetseiten, die auf [Seite 12](#) aufgeführt sind.

Was war der Zweck dieser klinischen Studie?

In dieser Studie sollte untersucht werden, ob das Studienmedikament ACZ885 Schmerzen von Kindern und jungen Erwachsenen mit **Sichelzellerkrankung (SZK)** lindern kann. Die SZK ist eine lebenslange Erkrankung. Bei Menschen mit dieser Krankheit verformen sich die roten Blutkörperchen und sterben schneller ab. Rote Blutkörperchen transportieren Sauerstoff zu allen Zellen des Körpers. Wenn diese Zellen schneller absterben, wird der Körper oft nicht mehr richtig mit Sauerstoff versorgt. Durch das Absterben der Zellen kann es auch zu Entzündungen kommen.

ACZ885 ist ein Medikament, das Entzündungen reduzieren soll. Es blockiert ein Protein, das Entzündungen auslöst. In einigen Ländern ist das Medikament zur Behandlung von anderen entzündlichen Erkrankungen zugelassen.

Möglicherweise kann ACZ885 die Schmerzen und Entzündungen lindern, die mit einer SZK verbunden sind. Diese Studie sollte außerdem neue Erkenntnisse über das Sicherheitsprofil von ACZ885 liefern. Bevor ein Medikament für die Verschreibung durch Ärzte für andere Krankheiten zugelassen werden kann, werden viele klinische Studien durchgeführt, um mehr über das Sicherheitsprofil und die Wirkungsweise zu erfahren.

Im Rahmen dieser Studie sollten die folgenden Fragen beantwortet werden:

- Hatten die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, weniger Schmerzen als die Teilnehmer, die Placebo erhielten?
Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf? Die Nachverfolgung der gesundheitlichen Probleme ermöglichte es, mehr über das Sicherheitsprofil von ACZ885 zu erfahren.

Was ist eine Entzündung?

An einer Entzündung sind viele Zellen und Proteine beteiligt, die den Körper während der Heilung schützen. Zu starke Entzündungen sind allerdings schädlich für den Körper und können Schmerzen verursachen.

Wie lange dauerte diese Studie?

Die Studie fand zwischen April 2017 und April 2020 statt. Die Teilnehmer konnten bis zu 15 Monate lang an der Studie teilnehmen.

Diese Studie wurde vorzeitig beendet, da bereits eine ausreichende Datenmenge über die Wirksamkeit von ACZ885 bei Kindern und jungen Erwachsenen mit SZK erfasst wurde. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung der Studie stand nicht im Zusammenhang mit dem Sicherheitsprofil des Studienmedikaments.

Wer nahm an dieser Studie teil?

Insgesamt wurden 49 Teilnehmer behandelt – 28 Jungen bzw. junge Männer und 21 Mädchen bzw. junge Frauen. 8 Teilnehmer schlossen diese Studie nicht ab. Die Teilnehmer waren zwischen 8 und 20 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 16 Jahren.

Alle Teilnehmer dieser Studie hatten eine SZK und dadurch regelmäßige Schmerzen. Die Teilnehmer:

- hatten im letzten Jahr mindestens 2-mal Schmerzen durch Sichelzellkrisen, die sie an normalen Alltagsaktivitäten hinderten
- hatten weder regelmäßig noch in den letzten 3 Monaten Bluttransfusionen erhalten
- hatten keine anderen schweren Erkrankungen

Diese Studie wurde in Deutschland, Israel, Kanada, Südafrika, der Türkei, den USA und im 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 Teilnehmern dieser Studie, darunter Alter, Geschlecht und ethnische Herkunft

Verwenden Sie den Studiencode **CACZ885X2206**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche Studienbehandlungen erhielten die Teilnehmer?



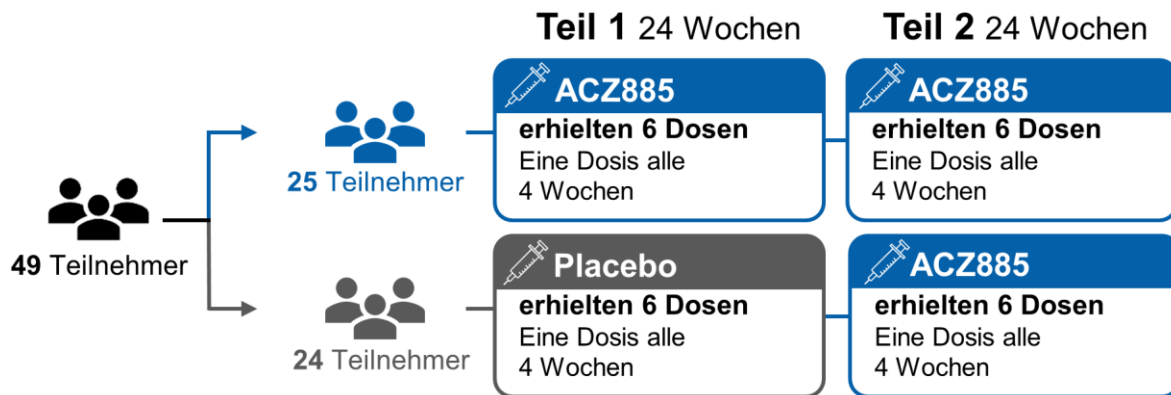
Mithilfe eines Computerprogramms wurden die Teilnehmer nach dem Zufallsprinzip einer der folgenden Behandlungen zugewiesen:

- **ACZ885:** Die Teilnehmer erhielten abhängig von ihrem Körpergewicht bis zu 300 mg
- **Placebo** (Scheinmedikament) – sieht genauso aus wie das Studienmedikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff.

Durch die Verwendung eines Placebos kann die tatsächliche Wirkung eines untersuchten Medikaments besser aufgezeigt werden.

Die Zuweisung der Behandlung mithilfe eines Computerprogramms nach dem Zufallsprinzip ermöglichte eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Die folgende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmer welche Behandlung in den einzelnen Studienteilen erhielten.



Die Studie war in Teil 1 und einen optionalen Teil 2 unterteilt:

- In Teil 1 wussten die Teilnehmer und die meisten Mitarbeiter des Studienteams nicht, welche Behandlung die einzelnen Teilnehmer erhielten. Einige Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da das Wissen darüber, welcher Teilnehmer welches Medikament erhält, die Studienergebnisse beeinflussen kann. Nicht zu wissen, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten, hilft sicherzustellen, dass die Ergebnisse unvoreingenommen betrachtet werden können.
- In Teil 2 erhielten alle Teilnehmer ACZ885. Somit wusste das Studienpersonal, welche Behandlung jeder Teilnehmer erhielt. Einige klinische Studien werden auf diese Weise durchgeführt, um das Sicherheitsprofil und die Wirkung eines Studienmedikaments über einen längeren Zeitraum zu beobachten.

Die Studienapotheker waren in beiden Teilen über die Behandlung der Teilnehmer informiert, damit sie die richtigen Medikamente ausgeben konnten.

Während der Studie konnten die Teilnehmer ihre üblichen Medikamente für ihre SZK weiterhin einnehmen.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?



Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Gesamtergebnisse dieser klinischen Studie, nicht auf die Ergebnisse einzelner Teilnehmer. Die Ergebnisse einzelner Teilnehmer 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 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.

Hatten die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, weniger Schmerzen als die Teilnehmer, die Placebo erhielten?



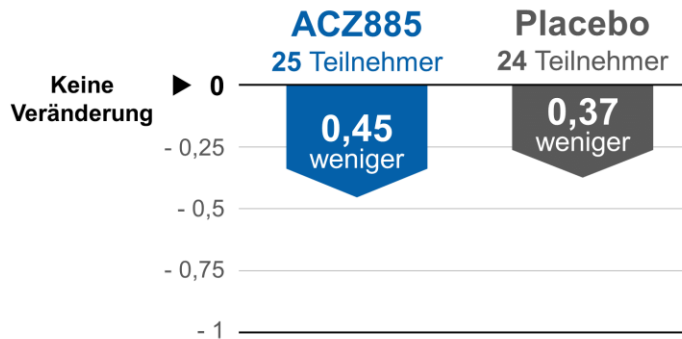
Alle Teilnehmer dieser Studie hatten nach 12 Wochen etwas weniger Schmerzen. Die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, berichteten von vergleichbar starken Schmerzen wie die Teilnehmer, die Placebo erhielten.

Um dies zu ermitteln, erhielt jeder Teilnehmer ein **elektronisches Tagebuch**. Das ist ein elektronisches Gerät, auf dem die Schmerzen vor, während und nach der Behandlung dokumentiert werden. Die Teilnehmer bewerteten ihre Schmerzen jeden Tag in ihrem elektronischen Tagebuch auf einer Skala von 0 (keine Schmerzen) bis 10 (stärkste vorstellbare Schmerzen).

Nach 12 Wochen in Teil 1 reduzierte sich das Schmerzniveau der Teilnehmer um **0,45** für die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe und um **0,37** für die Teilnehmer der Placebo-Gruppe. Dieser Unterschied war zu gering und daher nicht aussagekräftig.

Veränderung der berichteten Schmerzen

Die durchschnittliche Veränderung der von den Teilnehmern berichteten Schmerzen vor der Behandlung und nach 12 Behandlungswochen



Die Veränderung der Schmerzen wurde auch nach 24 Wochen in Teil 1 und erneut in Teil 2 ausgewertet. Für Teil 1 wurde festgestellt, dass die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe etwas weniger Schmerzen hatten als die Teilnehmer der Placebo-Gruppe. Diese Veränderung war zu gering und daher nicht aussagekräftig. Auch die berichteten Veränderungen in Teil 2 waren zu gering, um als bedeutsam gewertet zu werden.

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

Gesundheitliche Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet. 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, eine Versorgung des Teilnehmers im Krankenhaus erforderlich machen oder zum Tod führen.



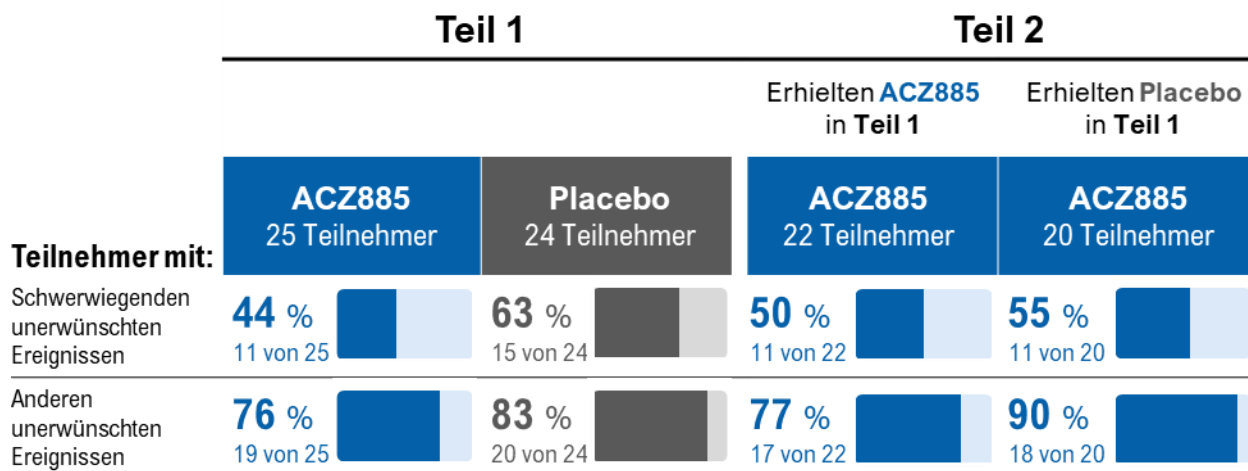
Unerwünschte Ereignisse können durch das untersuchte Medikament verursacht worden sein oder auch nicht.

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.



Bei den meisten Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf; davon waren einige schwerwiegend. Die Anzahl der Teilnehmer mit unerwünschten Ereignissen war in der ACZ885-Gruppe und der Placebo-Gruppe vergleichbar. Viele dieser unerwünschten Ereignisse treten bei Menschen mit SZK häufig auf, wie etwa Schmerzen durch eine Sichelzellkrise.

Teilnehmer mit unerwünschten Ereignissen

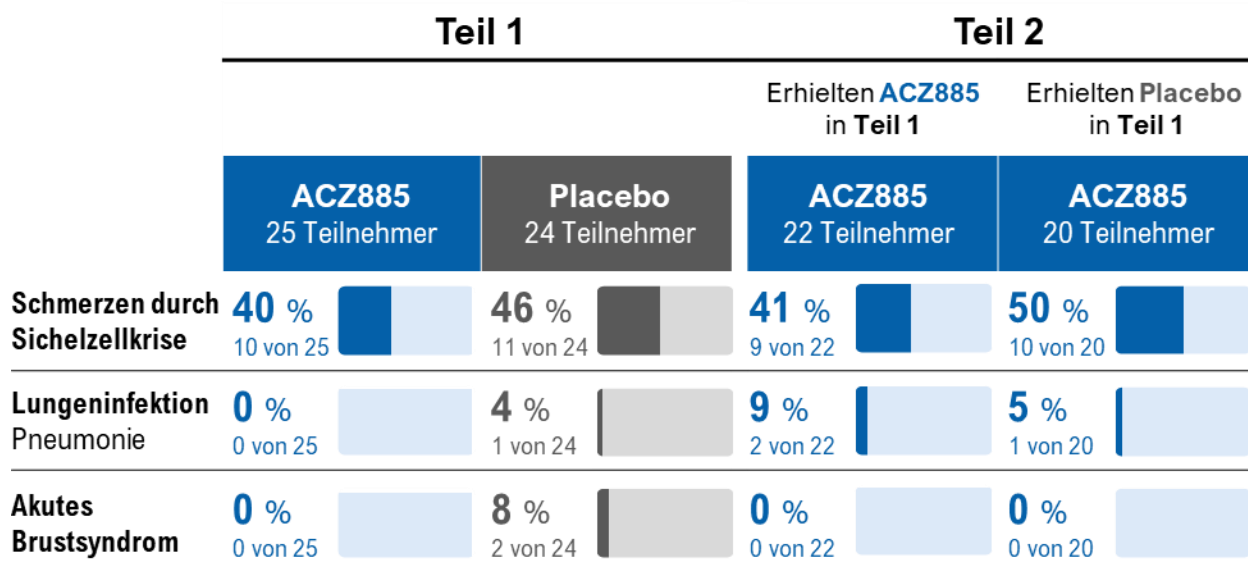


Kein Teilnehmer beendete die Studie aufgrund unerwünschter Ereignisse vorzeitig.

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei etwa der Hälfte aller Teilnehmer dieser Studie traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf. Die nachstehende Tabelle zeigt die schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, die bei **mindestens 2 Teilnehmern** in einer Behandlungsgruppe auftraten. Weitere schwerwiegende unerwünschte Ereignisse wurden von weniger Teilnehmern berichtet.

Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse

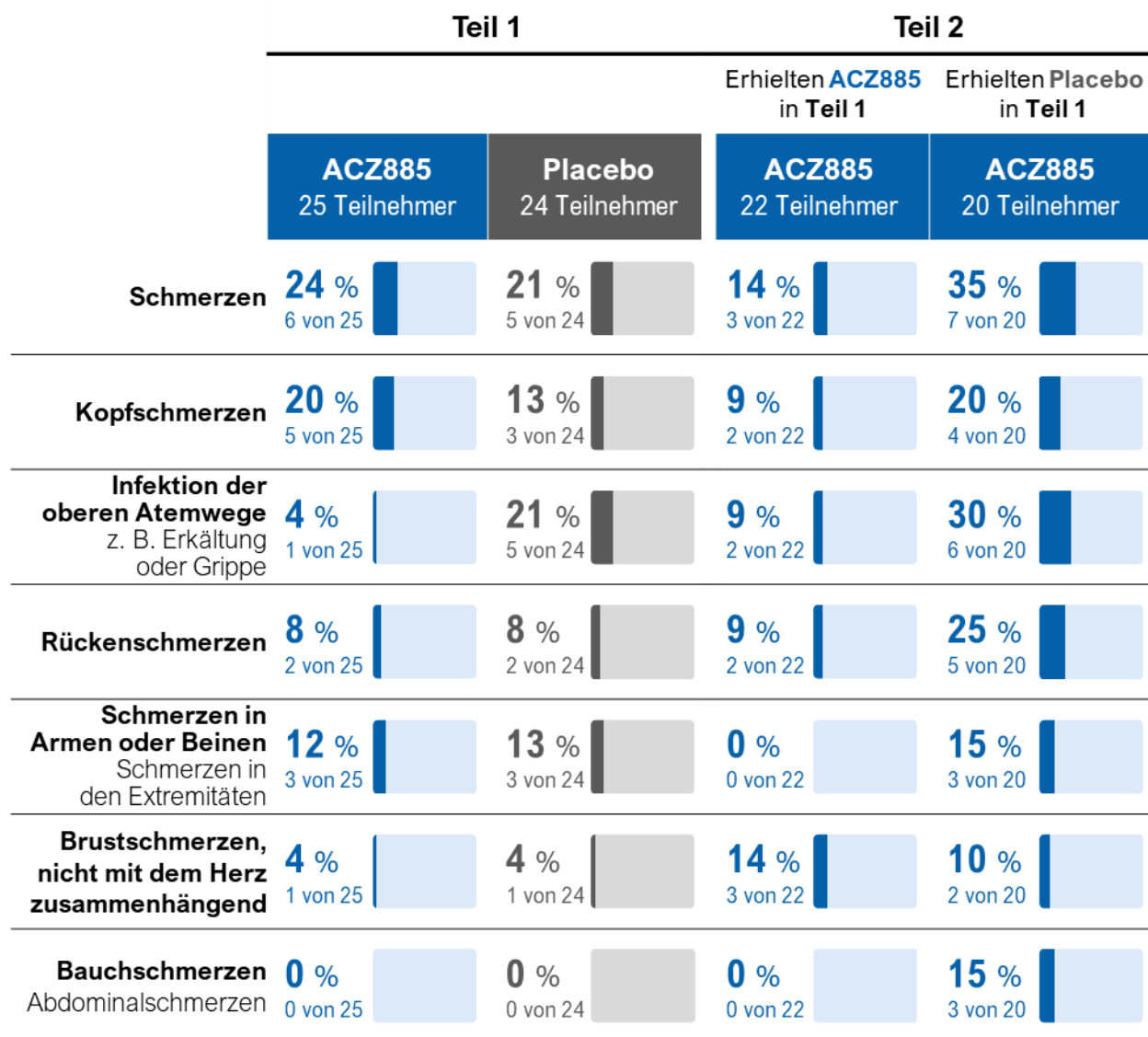


Das **akute Brustsyndrom** tritt auf, wenn die Sichelzellen den Blutfluss in der Lunge blockieren, was zu Schmerzen und Atemnot führt.

Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei den meisten Teilnehmern traten während dieser Studie unerwünschte Ereignisse auf, die nicht schwerwiegend waren. Die nachstehende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die bei **mindestens 3 Teilnehmern** in einer Behandlungsgruppe auftraten. Weitere unerwünschte Ereignisse wurden von weniger Teilnehmern berichtet.

Andere unerwünschte Ereignisse





Weitere Informationen über die unerwünschten Ereignisse, die bei den Teilnehmern dieser Studie auftraten, finden Sie unter [novctrd.com](https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02011111).
Verwenden Sie den Studiencode **CACZ885X2206**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche weiteren Erkenntnisse konnten gewonnen werden?



Konnte ACZ885 die Entzündungswerte im Blut der Teilnehmer senken?

Die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe hatten niedrigere Entzündungswerte im Blut als die Teilnehmer der Placebo-Gruppe.



Hatten die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe weniger schmerzbedingte Fehltage in der Schule oder bei der Arbeit?

Es war erkennbar, dass die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe gegen Ende ihrer Behandlung tendenziell an weniger Tagen in der Schule oder bei der Arbeit fehlten.



Hatten die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, weniger Hämolysezeichen?

Unter **Hämolyse** versteht man das Zerfallen und Absterben der roten Blutkörperchen. Sichelzellen zerfallen schneller und sterben schneller ab als normale rote Blutkörperchen. Bei den Teilnehmern der ACZ885-Gruppe waren im Vergleich zu den Teilnehmern der Placebo-Gruppe keine Unterschiede in den Hämolysezeichen erkennbar.



Waren für die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, weniger Bluttransfusionen erforderlich?

SZK-Patienten erhalten manchmal Transfusionen, um die akuten Symptome ihrer Sichelzellkrankheit zu behandeln. Man spricht dann von „Notfalltransfusionen“. Teilweise erhalten SZK-Patienten Transfusionen, um eine Sichelzellkrise zu verhindern. ACZ885 hatte keine bedeutende Auswirkung auf die Gesamtzahl der Bluttransfusionen der Teilnehmer. Die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe erhielten im Durchschnitt jedoch weniger Notfalltransfusionen als die Teilnehmer der Placebo-Gruppe.

Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Dies war die erste Studie zur Untersuchung der Wirkung von ACZ885 bei der Behandlung von Kindern und jungen Erwachsenen mit SZK. Es wurde festgestellt, dass durch die Blockierung eines Proteins SZK-bedingte Entzündungen reduziert werden konnten.

Die von den Teilnehmern berichteten Schmerzen reduzierten sich jedoch nicht wesentlich. Es wurde außerdem festgestellt, dass die Teilnehmer, die ACZ885 erhielten, gegen Ende der Behandlung im Durchschnitt weniger Tage in der Schule fehlten und tagsüber weniger müde waren.

Die Sicherheitsergebnisse für die Teilnehmer der ACZ885-Gruppe waren mit denen der Teilnehmer der Placebo-Gruppe vergleichbar.

Dies war eine von vielen Studien, die für ein Studienmedikament durchgeführt werden müssen, bevor es für die Verschreibung durch Ärzte für Menschen mit SZK zugelassen wird. Bei dieser Art Studien wird die Sicherheit und Wirksamkeit eines Studienmedikaments bei einer kleinen Anzahl von Teilnehmern untersucht.



Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzelnen 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 SZK angewendet werden können. Diese 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?



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 auf.
2. Klicken Sie oben rechts auf der Seite auf „**Clinical Trial Results**“ [Studienergebnisse].
3. Lesen Sie sich den Text auf der Seite durch, indem Sie nach unten scrollen. Klicken Sie anschließend auf „**I Accept**“ [Ich akzeptiere], um der Nutzung der Informationen und der Website zuzustimmen.
4. Wählen Sie im Dropdown-Menü „**Study Number**“ [Studiencode] aus.
5. Geben Sie „**CACZ885X2206**“ 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 die Studienärzte oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Diese Studie wurde auf den folgenden Websites registriert:

- ClinicalTrials.gov – <https://clinicaltrials.gov/>
Geben Sie „**CACZ885X2206**“ in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein, um nach dieser Studie zu suchen.
- European Union Clinical Trials Register – <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search>
Geben Sie „**CACZ885X2206**“ in das Suchfeld ein, um nach dieser Studie zu suchen.

Vollständiger Studientitel:

Eine doppelblinde, placebokontrollierte Mehrfachdosis-Studie im Paralleldesign zur Beurteilung der Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von ACZ885 (Canakinumab) bei Kindern und jungen Erwachsenen mit Sichelzellerkrankheit

Sind weitere Studien geplant, werden diese auf den oben genannten öffentlichen Websites aufgeführt. Suchen Sie nach dem Aufrufen der Website nach „**ACZ885**“ oder „**Canakinumab**“.

Vielen Dank!

Novartis möchte sich bei allen Personen bedanken, die an dieser klinischen Studie teilgenommen haben. Die Teilnehmer haben diese klinische Studie ermöglicht, wodurch wichtige medizinische Fragestellungen beantwortet und Erkenntnisse über eine mögliche medizinische Behandlung gewonnen werden konnten. 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