

Studie účinnosti a bezpečnosti frexalimabu (SAR441344) u dospělých s nerelabující sekundárně progresivní roztroušenou sklerózou

Toto je souhrn protokolu klinické studie, jejímž zadavatelem je společnost Sanofi. Je určen veřejnosti.

Informace v tomto dokumentu jsou aktuální a odpovídají verzi používaného protokolu klinické studie.

Číslo studie v EU: 2023-504359-29

Celý název studie: Randomizovaná, dvojitě zaslepená studie fáze 3 porovnávající účinnost a bezpečnost frexalimabu (SAR441344) vůči placebu u dospělých pacientů s nerelabující sekundárně progresivní roztroušenou sklerózou

1 Obecné informace o studii

Provádění studie se plánuje ve 25 zemích po celém světě, včetně přibližně 13 evropských, s plánovaným zahájením v lednu 2024.

Co je roztroušená skleróza?

Roztroušená skleróza je chronické autoimunitní onemocnění, při kterém imunitní systém napadá centrální nervový systém a způsobuje slabost, poruchy koordinace, necitlivost a poruchu řeči a zraku.

Jaký je důvod této studie? (Zdůvodnění)

U osob s roztroušenou sklerózou je zapotřebí nalézt léčbu, která by zastavila progresi postižení. Tato studie posuzuje hodnocený přípravek frexalimab v léčbě dospělých pacientů se sekundárně progresivní roztroušenou sklerózou (onemocnění se průběžně zhoršuje), kteří nemají akutní relapsy.

2 Cíle a způsob jejich stanovení

Tabulka ukazuje vlevo cíl studie a vpravo způsob, jakým se stanovuje.

Cíl	Způsob stanovení
Hlavní (primární): Vyhodnotit účinek frexalimabu na oddálení progresu postižení	Změny ve stavu postižení, v poruše chůze nebo v manuální obratnosti v 6měsíčních intervalech
Vedlejší (sekundární): Vyhodnotit účinek frexalimabu na aktivitu onemocnění	Změny v počtu a objemu mozkových lézí hodnocené magnetickou rezonancí
Vyhodnotit bezpečnost a snášenlivost	Procento účastníků s nežádoucím účinkem

3 Design studie

EFC17504 je randomizovaná, dvojitě zaslepená studie navržená k posouzení účinnosti a bezpečnosti frexalimabu ve srovnání s placebem při zpomalování progresu postižení. Délka studie pro jednotlivé účastníky se liší podle toho, kdy jsou zařazeni k užívání frexalimabu nebo placebo. Je to přibližně 51 měsíců u prvního zařazeného pacienta a přibližně 27 měsíců u posledního zařazeného pacienta. Studie skončí, jakmile bude dosaženo protokolem předem stanoveného počtu příhod spojených s cíli studie. „Dvojitě zaslepená“ znamená, že účastníci ani zkoušející lékaři nevědí, kdo dostává hodnocený lék a kdo placebo. Důvodem pro tento postup je zajistit, aby výsledky studie nebyly nijak ovlivněny.

Organizace studie

Studie se bude skládat z následujících studijních období: Zařazovací období neboli skríníng (den -28 až -1); randomizace neboli zahájení léčby (1. den), kdy jsou pacienti náhodně přiřazeni s pravděpodobností 2 ze 3, že budou dostávat frexalimab, nebo s pravděpodobností 1 ze 3, že budou dostávat placebo; léčebné období (1. den až konec

léčby); období následného sledování bezpečnosti a závěrečná návštěva na konci studie. Léčba je zvolena náhodně pro každého účastníka, což znamená, že se určí náhodně pomocí počítačového programu. Funguje to stejně jako hod mincí.

4 Jaké léky se budou zkoumat? (Hodnocená léčba)

Účastníci budou dostávat intravenózně (do žíly) roztok frexalimabu nebo placebo. Placebo vypadá jako hodnocený přípravek, ale neobsahuje žádnou účinnou látku. Dalším lékem, který je potřebný pro klinické hodnocení, je kontrastní látka používaná při magnetické rezonanci.

O hodnoceném přípravku frexalimabu

Frexalimab se váže na protein zvaný „ligand CD40“ a narušuje jeho aktivitu. Blokováním ligandu CD40 může frexalimab částečně blokovat abnormální působení imunitního systému těla proti mozkové tkáni, které je pozorováno u roztroušené sklerózy. Pro tuto studii byla vybrána jedna dávka frexalimabu.

5 Kdo se může zúčastnit? (Kritéria pro zařazení/vyřazení)

Kdo se může studii zúčastnit?

Pacienti ve věku od 18 do 60 let, u nichž byla diagnostikována sekundárně progresivní roztroušená skleróza bez relapsů, a kteří mají zdokumentovanou progresi postižení v posledním roce, nepřítomnost relapsů po dobu nejméně 24 měsíců a skóre od 3,0 do 6,5 bodů včetně na standardní škále hodnotící progresi příznaků roztroušené sklerózy (EDSS).

Kdo se nemůže studii zúčastnit?

Pacienti s určitými dalšími zdravotními problémy a léky nebo anamnézou, kvůli nimž nejsou pro účast ve studii vhodní.

6 Přínosy a možná rizika pro účastníky studie

Výsledky ze studie fáze 2 frexalimabu prokázaly, že byl dobře snášen a byl účinný při snižování počtu nových aktivních mozkových lézí u osob s relabující roztroušenou sklerózou po 12 týdnech léčby. Tato studie chce zkoumat, zda může frexalimab oddálit progresi postižení u osob se sekundárně progresivní roztroušenou sklerózou bez relapsů. Použití placeba je důležité, aby bylo možné jasně zjistit účinek frexalimabu.