

# Wirkung und Sicherheit von CDZ173 bei Erwachsenen und Jugendlichen mit APDS



## Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu dem Medikament **CDZ173**, auch Leniolisib genannt, teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über CDZ173 zur Behandlung von Patienten mit **APDS (aktiviertes Phosphoinositid-3-Kinase-delta-Syndrom)** gewonnen werden konnten. APDS ist auch unter der Bezeichnung PASLI (p110 $\delta$ -activating mutation causing senescent T cells, lymphadenopathy and immunodeficiency) bekannt.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist wichtig, allen Studienteilnehmern und Interessierten öffentlich 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: CCDZ173X2201

Studienmedikament: CDZ173

Auftraggeber: Novartis

## Was war der wichtigste Zweck dieser Studie?

Im Rahmen dieser Studie sollten neue Erkenntnisse über die Sicherheit und Wirkung von CDZ173 bei Patienten mit APDS gewonnen werden.



**APDS** ist eine genetische Erkrankung, die zu einem geschwächten Immunsystem führt. Bei APDS ist die Aktivität des Proteins (Eiweißstoff) PI3K delta übermäßig hoch.

**PI3K delta** steuert normalerweise, wie sich die weißen Blutkörperchen im Immunsystem entwickeln. Wenn PI3K delta überaktiv ist, ist die Funktionsweise der weißen Blutkörperchen zum Schutz des Körpers vor Infektionen beeinträchtigt. Eine übermäßige Aktivität kann auch zur Folge haben, dass sich weiße Blutkörperchen in den Lymphknoten ansammeln, was zu Schwellungen führt.

**Lymphknoten** sind winzige, bohnenförmige Gebilde im Körper, die Infektionserreger herausfiltern. Sie enthalten auch weiße Blutkörperchen zur Bekämpfung von Infektionen.

Im Rahmen dieser Studie untersuchte man eine Art von weißen Blutkörperchen, die sogenannten **B-Zellen**.



**CDZ173** ist ein Studienmedikament, das entwickelt wurde, um die Aktivität von PI3K delta zu verringern.

Diese Studie bestand aus zwei Teilen. Im Rahmen beider Teile wurde die Sicherheit von CDZ173 untersucht und:

- **Teil 1** konzentrierte sich darauf, wie verschiedene Dosen CDZ173 die Aktivität von PI3K delta bei Teilnehmern mit APDS verringerten. Diese Erkenntnisse halfen bei der Entscheidung, welche Dosis in Teil 2 verabreicht werden sollte.
- **Teil 2** konzentrierte sich auf die Wirkung von CDZ173 bei Teilnehmern mit APDS.

### Im Rahmen von Teil 1 dieser Studie sollten die folgenden Fragen beantwortet werden:

- Welche CDZ173-Dosis verringerte die Aktivität von PI3K delta am stärksten?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während Teil 1 auf?  
Die Nachverfolgung der medizinischen Probleme ermöglichte es, mehr über das Sicherheitsprofil von CDZ173 zu erfahren.



**Wesentliche Ergebnisse von Teil 1:** Die hohe Dosis CDZ173 verringerte die Aktivität von PI3K delta am stärksten und am längsten. Aus diesem Grund entschied man, in Teil 2 die hohe Dosis von CDZ173 zu verwenden. Es ergaben sich keine Sicherheitsbedenken zu CDZ173 während Teil 1.

### Im Rahmen von Teil 2 dieser Studie sollten die folgenden Fragen beantwortet werden:

- Hat CDZ173 die am stärksten geschwollenen Lymphknoten der Teilnehmer schrumpfen lassen?
- Hat CDZ173 die Anzahl bestimmter B-Zellen erhöht?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während Teil 2 auf?



**Wesentliche Ergebnisse von Teil 2:** Die am stärksten geschwollenen Lymphknoten schrumpften im Durchschnitt stärker bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, als bei denjenigen, die Placebo erhielten. Bei einigen Teilnehmern stieg die Anzahl bestimmter B-Zellen, und zwar stärker bei denjenigen, die CDZ173 erhielten. Man kam zu dem Schluss, dass dies bedeutende Unterschiede waren. Es ergaben sich auch keine Sicherheitsbedenken zu CDZ173 während Teil 2.

## Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im August 2015 und endete im August 2021. Es war vorgesehen, dass die Teilnehmer etwa 6 Monate lang in Teil 1 oder Teil 2 blieben.

## Wer nahm an dieser Studie teil?

Alle Teilnehmer dieser Studie litten an APDS. Sie nahmen entweder an Teil 1 oder Teil 2 teil:



### Teil 1

6 Teilnehmer – 4 Männer und 2 Frauen. Die Teilnehmer waren zwischen 16 und 31 Jahre alt. Der Altersdurchschnitt lag bei 22 Jahren. Alle 6 Teilnehmer gaben ihre ethnische Herkunft als weiß an.



### Teil 2

31 Teilnehmer – 15 Männer und 16 Frauen. Die Teilnehmer waren zwischen 12 und 54 Jahre alt. Der Altersdurchschnitt lag bei 24 Jahren.

Die Teilnehmer gaben ihre ethnische Herkunft wie folgt an:

- weiß – 25 Teilnehmer
- asiatisch – 2 Teilnehmer
- schwarz – 2 Teilnehmer
- Mehr als eine ethnische Herkunft – 2 Teilnehmer

Alle 31 Teilnehmer hatten mindestens einen geschwollenen Lymphknoten, der mithilfe bildgebender Untersuchungen festgestellt werden konnte.



Diese Studie wurde in Belarus, Deutschland, Irland, Italien, den Niederlanden, Russland, Tschechien, den USA und dem Vereinigten Königreich durchgeführt.

Unter [novctrd.com](http://novctrd.com) finden Sie weitere Informationen zu der Studie, zum Beispiel Informationen zu:

- den Teilnahmevoraussetzungen für diese klinische Studie
- den Gründen, aus denen die Teilnehmer die Studie nicht abschlossen

Verwenden Sie den Studiencode **CCDZ173X2201**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

# Welche Studienbehandlungen erhielten die Teilnehmer?

Die Teilnehmer erhielten in Teil 1 und Teil 2 unterschiedliche Studienbehandlungen.

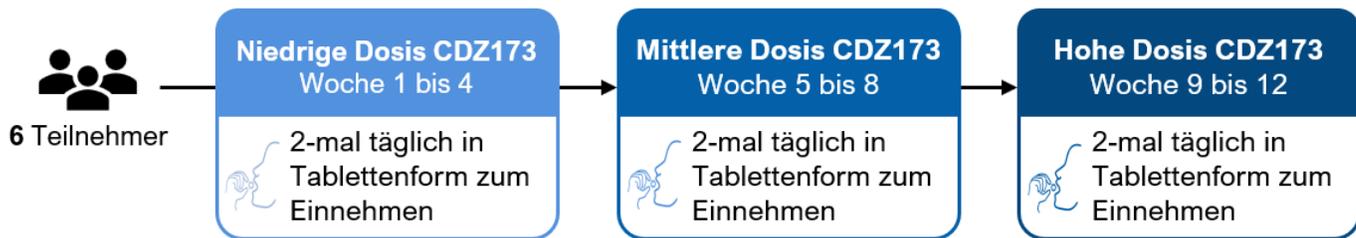
## Studienbehandlungen in Teil 1

Alle Teilnehmer nahmen jede der folgenden Behandlungen in Tablettenform ein:



- **Niedrige Dosis CDZ173** – 10 Milligramm (mg)
- **Mittlere Dosis CDZ173** – 30 mg
- **Hohe Dosis CDZ173** – 70 mg

Die folgende Grafik zeigt, wie lange und wie oft die Teilnehmer jede Behandlung erhielten.



Alle Teilnehmer begannen mit der niedrigen Dosis. Die Teilnehmer wurden während jeder Dosisgabe auf Sicherheitsbedenken hin überwacht. Nachdem die Teilnehmer eine Dosis 4 Wochen lang erhalten hatten und keine Sicherheitsbedenken bestanden, begannen sie mit der nächsthöheren Dosis. Alle Beteiligten wussten, welche Behandlung die Teilnehmer erhielten.

## Studienbehandlungen in Teil 2

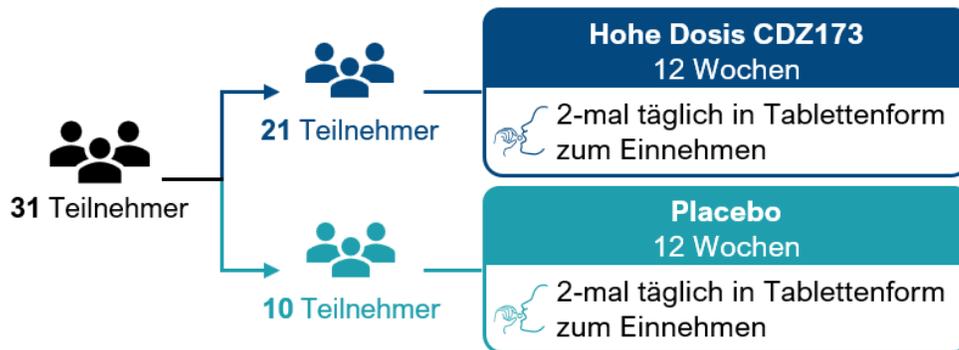
Alle Teilnehmer nahmen eine der folgenden Behandlungen in Tablettenform ein:



- **Hohe Dosis CDZ173** – 70 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.

Mithilfe eines Computerprogramms wurde den Teilnehmern nach dem Zufallsprinzip die Behandlung zugewiesen, die sie während dieser Studie erhielten. Die Zuweisung der Behandlung mithilfe eines Computerprogramms nach dem Zufallsprinzip ermöglichte eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Weder die Teilnehmer noch die Mitarbeiter des Auftraggebers der Studie oder das Studienpersonal wussten, welche Studienbehandlung die einzelnen Teilnehmer in Teil 2 erhielten. Einige klinische Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da die Ergebnisse der Studie zum Teil beeinflusst werden können, wenn bekannt ist, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten. Nicht zu wissen, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten, hilft dabei, die Ergebnisse neutral auszuwerten. Die folgende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmer welcher Behandlung zugewiesen wurden.



## 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 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.

### Teil 1: Welche CDZ173-Dosis verringerte die Aktivität von PI3K delta am stärksten?



Die hohe Dosis CDZ173 verringerte die Aktivität von PI3K delta am stärksten und am längsten. Aus diesem Grund entschied man, in Teil 2 die hohe Dosis CDZ173 zu verwenden.

Den Teilnehmern wurden Blutproben entnommen, und zwar bevor sie mit der CDZ173-Behandlung begannen und zu verschiedenen Zeitpunkten nach Beginn der jeweiligen Dosisstufe. Die Blutproben wurden untersucht in Bezug auf:

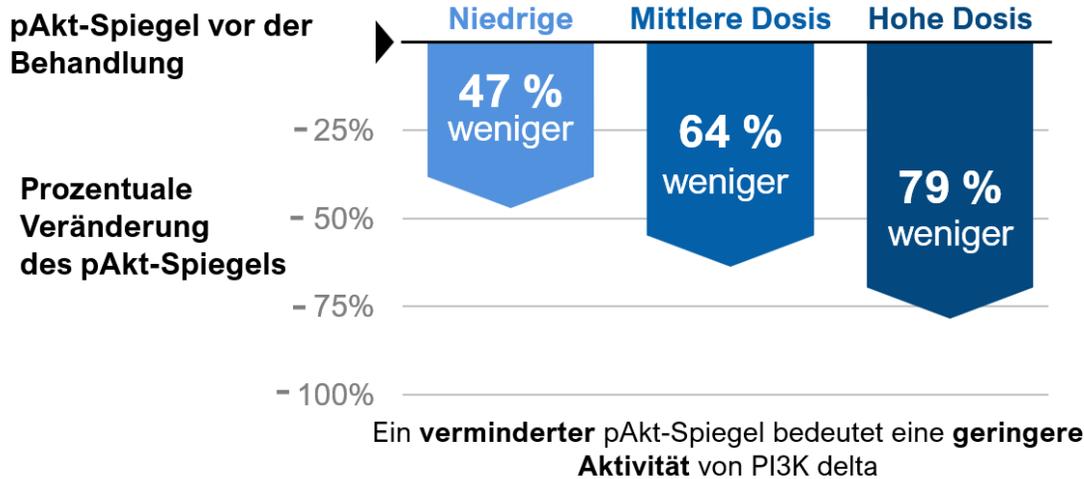
- die Menge an CDZ173, die in das Blut gelangte
- ein Protein namens pAkt, das PI3K delta bildet, wenn es aktiv ist. **Ein verminderter pAkt-Spiegel bedeutet eine geringere Aktivität von PI3K delta.**

Es wurde festgestellt, dass die Menge an CDZ173 im Blut der Studienteilnehmer mit ansteigender Dosis zunahm.

Zudem wurde der pAkt-Spiegel untersucht, um feststellen zu können, wie stark sich die Aktivität von PI3K delta nach jeder Dosisstufe veränderte. Die hohe Dosis CDZ173 verringerte die Aktivität von PI3K delta am stärksten und am längsten.

## Durchschnittliche Veränderung des pAkt-Spiegels

Die folgende Grafik zeigt die durchschnittliche Veränderung des pAkt-Spiegels nach der 4-wöchigen Behandlung mit jeder CDZ173-Dosis. Es wurden die jeweiligen pAkt-Spiegel vor und nach der Behandlung in den einzelnen Dosisstufen miteinander verglichen.



Es wurden 2 Untersuchungen anhand der Blutproben durchgeführt, um die Veränderungen in Bezug auf pAkt und PI3K delta zu ermitteln. Die Ergebnisse beider Untersuchungen waren wie erwartet ähnlich.

Die Ergebnisse wurden von den Studienärzten sowie von Wissenschaftlern und nationalen Gesundheitsbehörden überprüft. Sie stimmten der Verwendung der hohen Dosis in Teil 2 zu.

## Teil 2: Hat CDZ173 die am stärksten geschwollenen Lymphknoten der Teilnehmer schrumpfen lassen?



Ja. Im Durchschnitt schrumpften die am stärksten geschwollenen Lymphknoten bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, nach 12 Wochen stärker als bei denjenigen, die Placebo erhielten. Man kam zu dem Schluss, dass dies ein bedeutender Unterschied war.

Um dies herauszufinden, wurden Aufnahmen der Lymphknoten aller Teilnehmer angefertigt, und zwar mittels einer der folgenden Methoden:

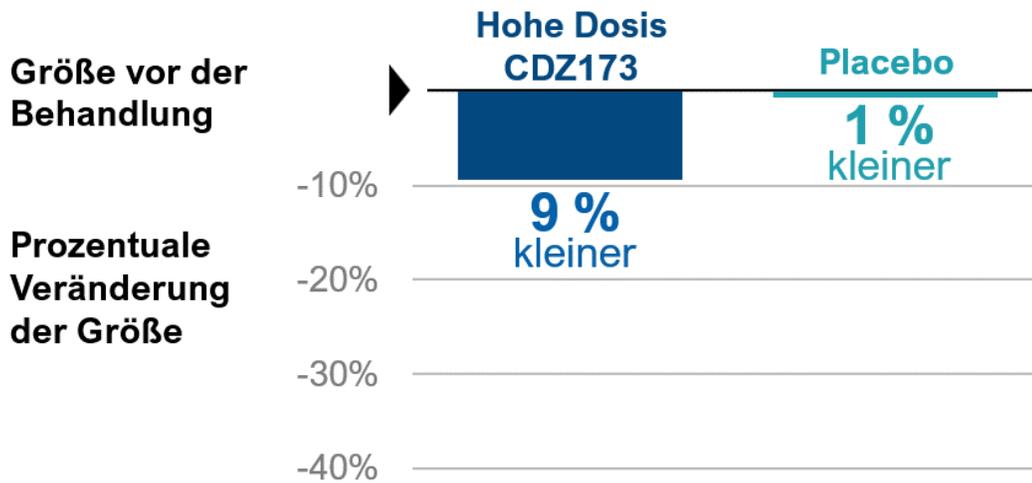
- CT-Untersuchungen (Computertomografie)
- MRT-Untersuchungen (Magnetresonanztomografie)

Es wurde die Größe der am stärksten geschwollenen Lymphknoten der Teilnehmer vor und nach der Behandlung verglichen.

Die am stärksten geschwollenen Lymphknoten schrumpften bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, stärker als bei denjenigen, die Placebo erhielten. Man kam zu dem Schluss, dass dies ein bedeutender Unterschied war.

# Veränderung der Größe der am stärksten geschwollenen Lymphknoten

Die folgende Grafik zeigt die durchschnittliche Größenveränderung der am stärksten geschwollenen Lymphknoten der Teilnehmer nach 12 Behandlungswochen.



## Teil 2: Hat CDZ173 die Anzahl bestimmter B-Zellen erhöht?



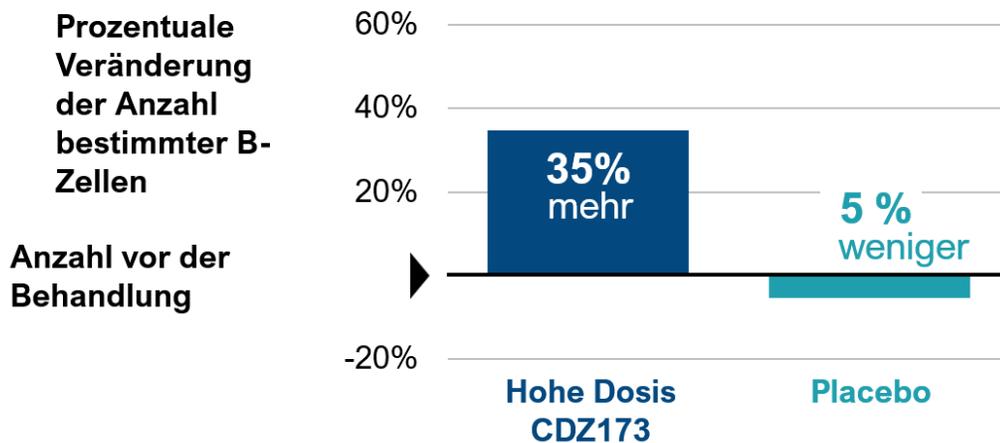
Ja. Bei einigen Teilnehmern stieg die Anzahl der B-Zellen nach 12 Wochen, und zwar stärker bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, als bei denjenigen, die Placebo erhielten. Man kam zu dem Schluss, dass dies ein bedeutender Unterschied war.

Um dies herauszufinden, wurden die Blutproben von Teilnehmern, die eine geringe Anzahl bestimmter B-Zellen aufwiesen, untersucht. Bei **B-Zellen** handelt es sich um eine Art von weißen Blutkörperchen, die sich „einschalten“, wenn sie eine Infektion bekämpfen. Patienten mit APDS haben normalerweise eine geringe Anzahl eines bestimmten Typs von B-Zellen, die sich nicht „eingeschaltet“ haben.

Es wurde die Anzahl bestimmter B-Zellen der Teilnehmer vor der Behandlung gemessen. Bei den Teilnehmern, die eine geringe Zahl aufwiesen, wurde die Anzahl dieser bestimmten B-Zellen vor der Behandlung mit der Anzahl nach der Behandlung verglichen. Es wurde festgestellt, dass die Anzahl dieser B-Zellen bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, stärker anstieg als bei denjenigen, die Placebo erhielten. Man kam zu dem Schluss, dass dies ein bedeutender Unterschied war.

## Veränderung der Anzahl bestimmter B-Zellen

Die folgende Grafik zeigt die durchschnittliche Veränderung der Anzahl bestimmter B-Zellen im Blut der Teilnehmer nach 12 Behandlungswochen gegenüber der Anzahl vor der Behandlung. In der Grafik sind nur die Teilnehmer berücksichtigt, die vor der Behandlung eine geringe Anzahl bestimmter B-Zellen aufwiesen.



## Welche weiteren Erkenntnisse konnten gewonnen werden?

### Hat CDZ173 den Gesundheitszustand und die Lebensqualität der Teilnehmer verändert?

Jeder Teilnehmer und dessen Studienarzt beantworteten Fragen, um die Auswirkungen von APDS auf die Gesundheit der Teilnehmer messen zu können. In Teil 1 und 2 zeigten die Antworten der Ärzte und Teilnehmer, dass die Teilnehmer, die CDZ173 erhielten, weniger APDS-Symptome hatten.

Die Teilnehmer beantworteten auch Fragen zu ihrer Lebensqualität, z. B. zu ihrer Fähigkeit, zur Arbeit bzw. zur Schule zu gehen. In Teil 1 konnte aufgrund der geringen Teilnehmerzahl nicht festgestellt werden, ob sich CDZ173 auf die Lebensqualität auswirkte. In Teil 2 kam man zu dem Schluss, dass CDZ173 keine bedeutenden Auswirkungen auf die Lebensqualität hatte.

### Konnte CDZ173 die Entzündungswerte im Blut der Teilnehmer verringern?

Es wurden die Ergebnisse von Blutuntersuchungen, die Entzündungswerte bestimmen, untersucht. In Teil 1 und Teil 2 kam man zu dem Schluss, dass einige Entzündungswerte bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, abnahmen und einige etwa gleich blieben. Es bedarf weiterer Untersuchungen, um herauszufinden, ob CDZ173 einen bedeutenden Einfluss auf Entzündungen hat.

### In Teil 2: Hat CDZ173 andere geschwollene Lymphknoten und geschwollene Milzen schrumpfen lassen?

Zudem verglich man die Veränderung der Größe der weniger geschwollenen Lymphknoten und der Milz der Teilnehmer. Die Milz ist ein weiteres Organ, das dabei hilft, Infektionserreger aus dem Blut zu filtern. Es wurde festgestellt, dass diese Organe bei den Teilnehmern, die CDZ173 erhielten, stärker schrumpften als bei denjenigen, die Placebo erhielten.

# Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern auf?

Medizinische Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet.

Während einer Studie werden **alle** unerwünschten Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt, auch wenn die Studienärzte keinen Zusammenhang mit dem untersuchten Medikament vermuten.

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

## Ein unerwünschtes Ereignis:

- ist jedes **ungewollte Anzeichen oder Symptom**, das bei Teilnehmern während einer Studie auftritt.
- gilt als **schwerwiegend**, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht, eine Versorgung des Teilnehmers im Krankenhaus erforderlich macht oder zum Tod führt.

Unerwünschte Ereignisse **können durch** das Studienmedikament **verursacht sein oder auch nicht**.

In diesem Abschnitt sind alle unerwünschten Ereignisse zusammengefasst, die während und bis zu 1 Monat nach Abschluss der Behandlung auftraten.

## Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während Teil 1 auf?



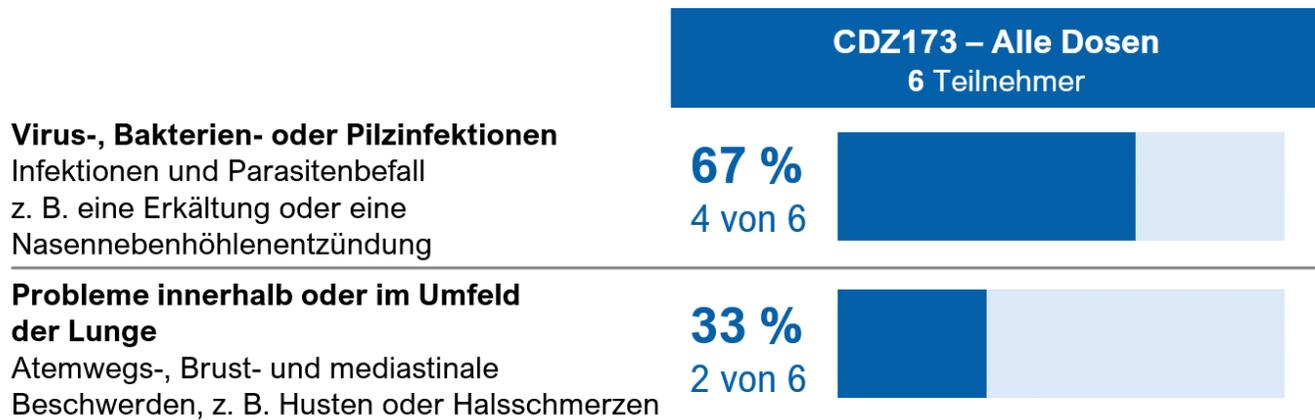
Bei den meisten Teilnehmern (4 von 6 Teilnehmern) traten unerwünschte Ereignisse auf. Bei keinem Teilnehmer traten unerwünschte Ereignisse auf, die schwerwiegend waren. Die häufigsten unerwünschten Ereignisse waren Virus-, Bakterien- oder Pilzinfektionen. Es ergaben sich keine Sicherheitsbedenken zu CDZ173 während Teil 1.

## Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei keinem Teilnehmer traten während Teil 1 schwerwiegende unerwünschte Ereignisse, einschließlich Todesfällen, auf.

## Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei 4 der 6 Teilnehmer (67 %) in Teil 1 traten unerwünschte Ereignisse auf. Die folgende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die bei **mindestens 2 Teilnehmern** in Teil 1 auftraten. Weitere unerwünschte Ereignisse wurden von weniger Teilnehmern berichtet.



## Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während Teil 2 auf?



Bei den meisten Teilnehmern (27 von 31 Teilnehmern) traten unerwünschte Ereignisse auf. Bei 5 von 31 Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf, die schwerwiegend waren. Das häufigste unerwünschte Ereignis waren Kopfschmerzen. Es ergaben sich keine Sicherheitsbedenken zu CDZ173 während Teil 2.

### Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei 5 der 31 Teilnehmer (16 %) traten insgesamt 11 schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf. Die folgenden schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten einmal auf.

Bei 3 der 21 Teilnehmer (14 %), die die **hohe Dosis CDZ173** erhielten, traten 5 schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf:

- **Gefährlich hoher Blutalkoholspiegel** | Alkoholvergiftung
- **Zustand der Bewusstlosigkeit sowie der Unfähigkeit aufzuwachen** | Koma
- **Mögliches Anzeichen für eine Schädigung von Bauchspeicheldrüse, Nieren oder Gallenblase** | erhöhte Lipase
- **Schwerwiegende Infektion des Mastoidknochens (Knochen hinter dem Ohr)** | Mastoiditis
- **Unterdurchschnittliches Körperwachstum und Körpergewicht für das jeweilige Alter** | Gedeihstörung

Bei 2 der 10 Teilnehmer (20 %), die **Placebo** erhielten, traten 6 schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf:

- **Bluthochdruck in der Lunge und im Herzen** | pulmonale Hypertonie
- **Verschlimmerung einer Infektion der Atemwege in der Lunge** | infektiöse Exazerbation von Bronchiektasen
- **Bedarf an Sauerstoffunterstützung** | Abhängigkeit von einer Sauerstofftherapie
- **Kurzatmigkeit** | Dyspnoe
- **Geschwollene Lymphknoten** | Lymphadenopathie
- **Harnwegsinfektion** | HWI

Es wurden keine weiteren schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, einschließlich Todesfällen, gemeldet.

### Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

- **Hohe Dosis CDZ173:** 18 der 21 Teilnehmer (86 %) in Teil 2 meldeten unerwünschte Ereignisse
- **Placebo:** 9 der 10 Teilnehmer (90 %) in Teil 2 meldeten unerwünschte Ereignisse

Die nachstehende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die bei **mindestens 4 Teilnehmern** auftraten. Weitere unerwünschte Ereignisse wurden von weniger Teilnehmern berichtet.

	Hohe Dosis CDZ173 21 Teilnehmer	Placebo 10 Teilnehmer
<b>Kopfschmerzen</b>	<b>24 %</b> 5 von 21	<b>20 %</b> 2 von 10
<b>Übelkeit</b>	<b>5 %</b> 1 von 21	<b>30 %</b> 3 von 10
<b>Nebenhöhlenentzündung</b> Sinusitis	<b>19 %</b> 4 von 21	<b>0 %</b> 0 von 10
<b>Infektion von Nase, Rachen und Atemwegen</b> Infektion der oberen Atemwege	<b>10 %</b> 2 von 21	<b>20 %</b> 2 von 10

### Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Dies war die erste Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirkung von CDZ173 bei Patienten mit APDS. Im Rahmen dieser Studie wurde festgestellt, dass die hohe Dosis CDZ173:

- die Aktivität von PI3K delta am stärksten verringerte
- geschwollene Lymphknoten schrumpfen konnte
- die Anzahl bestimmter B-Zellen bei Teilnehmern, die vor der Behandlung eine geringe Anzahl aufwiesen, erhöht hat

Es ergaben sich in dieser Studie keine Sicherheitsbedenken.

Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen Studie. Andere Studien können zu anderen Ergebnissen kommen. Dies war eine von vielen Studien, die für ein Studienmedikament durchgeführt werden müssen. Bei dieser Art von Studie wird das Sicherheitsprofil eines Studienmedikaments bei einer kleinen Anzahl von Teilnehmern untersucht.

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

---

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf den folgenden englischsprachigen Webseiten:

- [novctrd.com](http://novctrd.com) – nach Studiencode **CCDZ173X2201** suchen
- [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) – nach Code **NCT02435173** suchen
- [clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search](http://clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search) – nach Code **2014-003876-22** suchen

Sind weitere Studien geplant, werden diese auf den oben genannten öffentlichen Webseiten aufgeführt. Suchen Sie nach dem Aufrufen der Webseite nach **CDZ173, Leniolisib, APDS oder PASLI**.

### Vollständiger Studientitel:

Eine unverblindete, nicht-randomisierte, patientenindividuelle Dosisfindungsstudie, gefolgt von einer randomisierten, Teilnehmer-, Studienarzt- und Auftraggeber-verblindeten placebokontrollierten Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von CDZ173 (Leniolisib) bei Patienten mit APDS/PASLI (Activated phosphoinositide 3-kinase delta syndrome/p110 $\delta$ -activating mutation causing senescent T cells, lymphadenopathy and immunodeficiency)



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



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