

Zusammenfassung der Studienergebnisse

Eine klinische Studie zur Untersuchung der Wirkung und Sicherheit von QBW251 bei Patienten mit chronisch obstruktiver Lungenerkrankung (COPD)

Prüfplannummer der klinischen Studie: CQBW251B2201

Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie mit dem Medikament **QBW251**, auch Icenticaftor genannt, teilgenommen haben.

Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über die Wirkung von QBW251 bei Patienten mit **COPD** gewonnen werden konnten. Diese klinische 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, welchen großen Beitrag sie für die medizinische Forschung leisten.

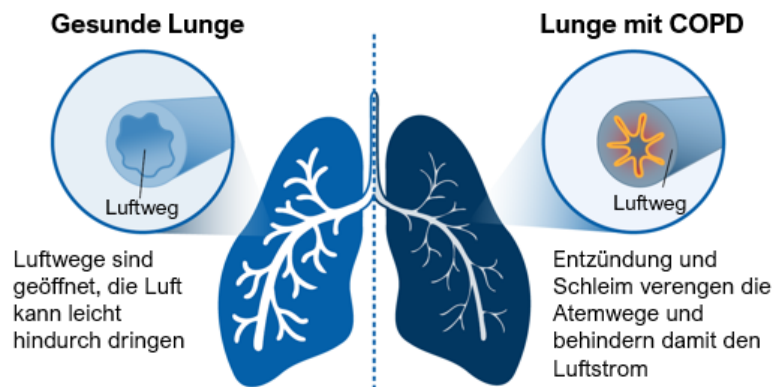


Wenn Sie an der Studie teilgenommen und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an den Studienarzt oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich nur auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie. Andere klinische Studien können zu anderen Ergebnissen kommen.

Warum war diese Studie notwendig?

Wissenschaftler sind auf der Suche nach einer besseren Möglichkeit zur Behandlung einer **chronisch obstruktiven Lungenerkrankung (COPD)**. „COPD“ bezeichnet eine Gruppe von langanhaltenden Lungenerkrankungen, zu denen das Lungenemphysem (eine Überblähung der Lunge) und die chronische Bronchitis gehören. Eine COPD kann den Luftstrom in die Lunge blockieren, das Atmen erschweren und Husten mit Auswurf (auch als „Sputum“ bezeichnet) verursachen.



Patienten mit COPD können eine **Standardbehandlung** erhalten, die als „**Dreifachtherapie**“ bezeichnet wird, da es sich um eine Kombination aus 3 Medikamenten handelt: Zwei der Medikamente (sogenannte Bronchodilatoren) öffnen die Atemwege in die Lunge, das dritte Medikament (sogenannte Steroide) verringert die Entzündung. Bei einigen Patienten lässt sich die COPD mit der Standardbehandlung allein jedoch nicht ausreichend behandeln.

QBW251, auch Icenticafator (ausgesprochen „Ei-sen-ti-kaf-tor“) genannt, ist ein Studienmedikament, das nach Annahme der Wissenschaftler den Schleim in der Lunge verdünnt und die Entzündung, die den Luftstrom blockiert, verringert.

Ziel der Studie

Im Rahmen dieser Studie sollten vorrangig neue Erkenntnisse über die Wirkung und Sicherheit von verschiedenen Dosen QBW251 zusammen mit einer Standardbehandlung bei Patienten mit COPD gewonnen werden.

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

- Konnten verschiedene Dosen QBW251 die Atmung der Teilnehmer nach 12 Wochen verbessern?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

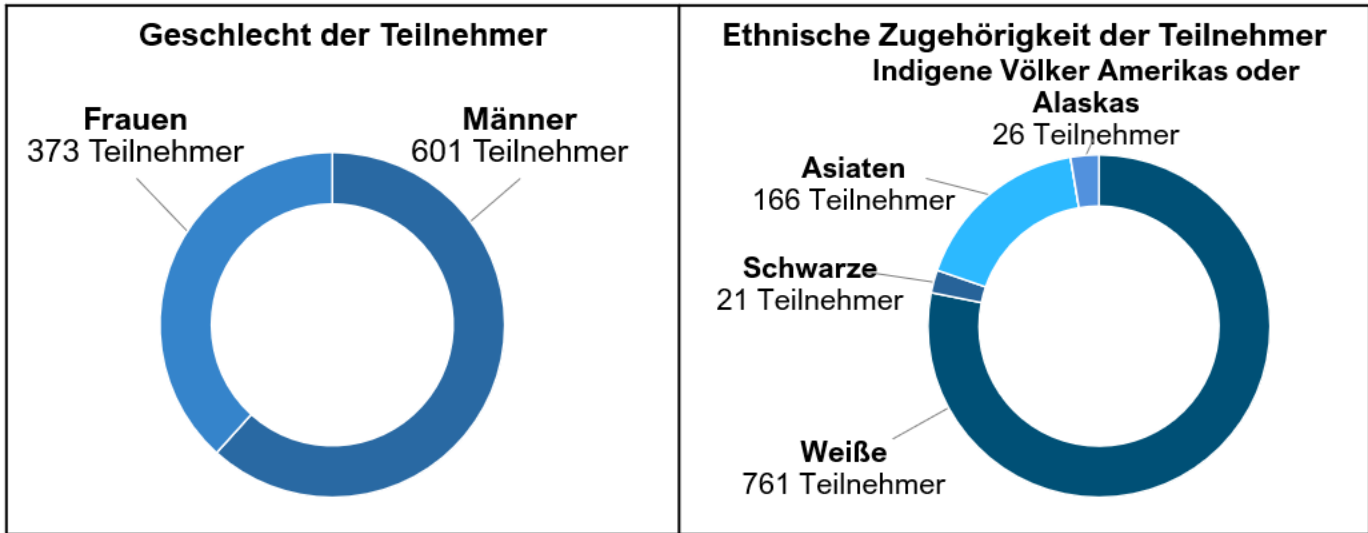
Wie lange dauerte diese Studie?

Die Studie begann im September 2019 und endete im Februar 2022. Die Studie wurde so gestaltet, dass jeder Teilnehmer etwa 7 Monate lang teilnehmen konnte.

Nach Studienende wurden die Informationen zu den Studienbehandlungen gesammelt und ein Bericht der Studienergebnisse erstellt. Die vorliegende Zusammenfassung basiert auf diesem Bericht.

Wer nahm an dieser Studie teil?

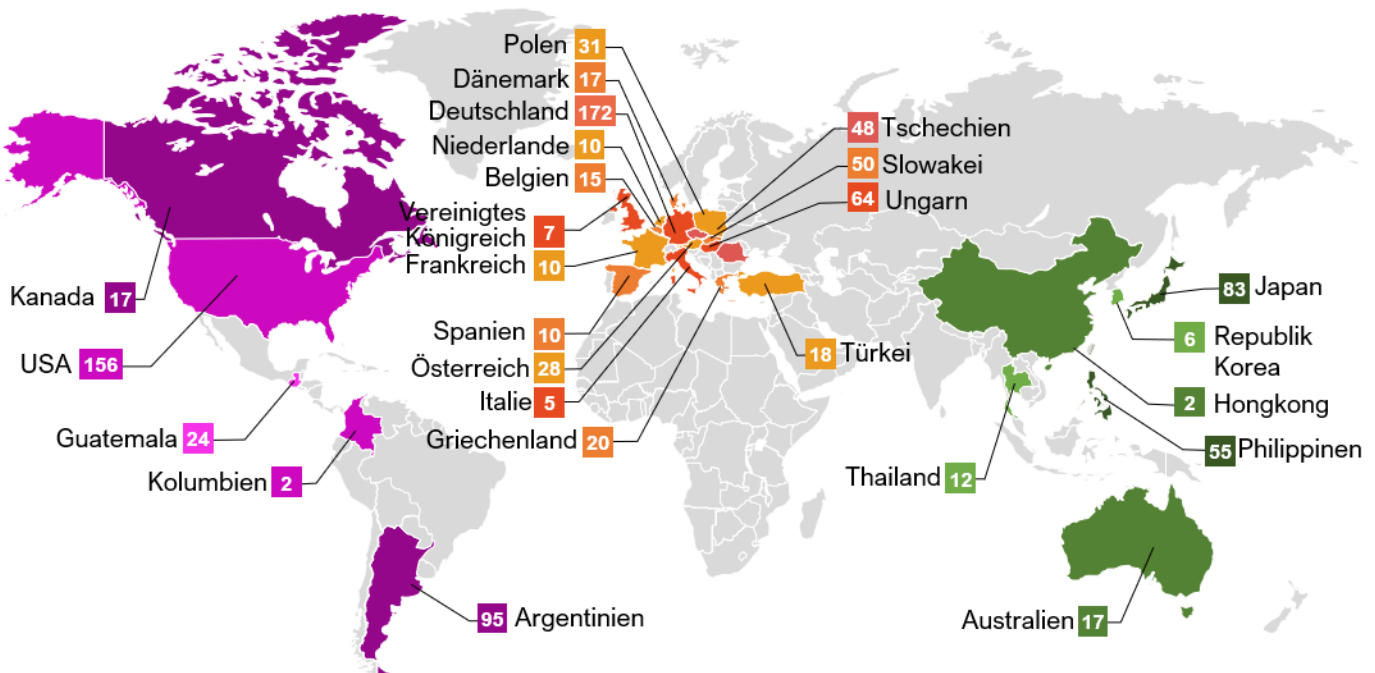
An dieser Studie nahmen 974 Personen teil. Die Teilnehmer waren zwischen 41 und 90 Jahre alt. Der Altersdurchschnitt lag bei 67 Jahren.



Die Teilnehmer konnten in die Studie aufgenommen werden, wenn sie eine COPD hatten und:

- die Standardbehandlung mit einer Dreifachtherapie erhielten
- eine chronische Bronchitis hatten
- seit mindestens 10 Jahren täglich Zigaretten geraucht hatten
- keine anderen schwerwiegenden Gesundheitsprobleme hatten

Die Studie wurde an 149 Studienzentren in 26 Ländern durchgeführt. Die folgende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmer im jeweiligen Land teilgenommen haben.



Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?

In dieser Studie wurden folgende Behandlungen angewendet:



QBW251, auch Icenticaftor genannt, wurde über einen Zeitraum von bis zu 24 Wochen in Kapselform eingenommen. Die Teilnehmer wurden einer von 5 Dosen zugewiesen, die 2-mal täglich eingenommen wurden:

- **Dosis A:** 450 Milligramm (mg) QBW251
- **Dosis B:** 300 mg QBW251
- **Dosis C:** 150 mg QBW251
- **Dosis D:** 75 mg QBW251
- **Dosis E:** 25 mg QBW251



Placebo: Ein Placebo (Scheinmedikament) sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos können Wissenschaftler die Wirkung eines Studienmedikaments besser verstehen.

Die Teilnehmer wurden mithilfe eines Computersystems nach dem Zufallsprinzip Behandlungsgruppen zugewiesen. Weder die Teilnehmer noch die Studienärzte oder das Studienpersonal wussten, welche Studienbehandlung die Teilnehmer erhielten.

Jeder Teilnehmer erhielt zusätzlich zu der zugewiesenen Behandlung die **Standardbehandlung für COPD**, die einmal täglich mithilfe von Inhalatoren verabreicht wurde. Die Dreifachtherapie bestand aus:

- **Vilanterol** (ein langwirksamer β 2-Agonist): 25 Mikrogramm (μ g)
- **Umeclidiniumbromid** (ein langwirksamer Muskarin-Rezeptor-Antagonist): 62,5 μ g
- **Fluticasonfuroat** (ein inhalatives Kortikosteroid): 100 μ g

Was geschah während der Studie?



Bis zu
3 Wochen
vor der
Behandlung

Vor der Studienbehandlung

Der allgemeine und der COPD-bedingte Gesundheitszustand der Teilnehmer wurden überprüft, um sicherzustellen, dass diese an der klinischen Studie teilnehmen konnten.



An dieser Studie nahmen **974 Personen** teil. Zwei Wochen vor Beginn der ihnen zugewiesenen Studienbehandlung begannen sie mit der gleichen Standardbehandlung mithilfe von Inhalatoren.



Bis zu
24 Wochen

Während der Studienbehandlung

Die Teilnehmer wurden nach dem Zufallsprinzip einer der folgenden Studienbehandlungen zugewiesen, die zweimal täglich in Kapselform eingenommen wurde:

- **Dosis A (99 Teilnehmer):** 450 Milligramm (mg) QBW251 – die Einnahme dieser Dosis wurde vorzeitig beendet, da die Dosis nach Einschätzung der Wissenschaftler zu hoch war
- **Dosis B (250 Teilnehmer):** 300 mg QBW251
- **Dosis C (124 Teilnehmer):** 150 mg QBW251
- **Dosis D (126 Teilnehmer):** 75 mg QBW251
- **Dosis E (124 Teilnehmer):** 25 mg QBW251
- **Placebo (251 Teilnehmer)**

Die Studienteilnehmer erhielten neben der ihnen zugewiesenen Studienbehandlung weiterhin die Standardbehandlung.

Während der Studie wurden die COPD-Symptome und der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmer regelmäßig überprüft.



Bis zu
4 Wochen

Nach der Studienbehandlung

Alle Teilnehmer kamen etwa 4 Wochen nach ihrer letzten Dosis der Studienbehandlung in das Studienzentrum. Die Teilnehmer setzten die Standardbehandlung bis zu ihrem letzten Besuchstermin im Rahmen der Studie fort.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die Studie?

Konnten verschiedene Dosen QBW251 die Atmung der Teilnehmer nach 12 Wochen verbessern?



Nein. Nach 12 Wochen konnten die Teilnehmer, die eine der Dosen QBW251 einnahmen, nicht leichter atmen als die Teilnehmer, die Placebo einnahmen. Die Wissenschaftler kamen zu dem Schluss, dass keine der QBW251-Dosen nach 12 Wochen im Vergleich zu Placebo eine bedeutsame Wirkung hatte.

Zu welchen anderen Ergebnissen kam diese Studie?

Konnten verschiedene Dosen QBW251 die Atmung der Teilnehmer nach 24 Wochen verbessern?

Ja. Nach 24 Wochen konnten die Teilnehmer, die **Dosis B** (300 mg QBW251) einnahmen, leichter atmen als die Teilnehmer, die Placebo einnahmen. Die niedrigeren QBW251-Dosen (**Dosis C** 150 mg, **Dosis D** 75 mg und **Dosis E** 25 mg) hatten im Vergleich zu Placebo keine bedeutsame Wirkung.

Um dies festzustellen, wurde bei den einzelnen Teilnehmern die Fähigkeit zu atmen während der Studie über einen Zeitraum von bis zu 24 Wochen zu verschiedenen Zeitpunkten überprüft.

Konnten verschiedene Dosen QBW251 die COPD-Symptome der Teilnehmer nach 24 Wochen lindern?

Ja. Nach 24 Wochen hatten die Teilnehmer, die **Dosis B** (300 mg QBW251) einnahmen, weniger COPD-Symptome als die Teilnehmer, die Placebo einnahmen. Die niedrigeren QBW251-Dosen (**Dosis C** 150 mg, **Dosis D** 75 mg und **Dosis E** 25 mg) hatten im Vergleich zu Placebo keine bedeutsame Wirkung.

Um dies festzustellen, beantworteten die Teilnehmer vor und während der Studienbehandlung Fragen zu ihren COPD-Symptomen, darunter auch Fragen dazu, wie häufig Folgendes auftrat:

- Husten
- Sputum
- Andere Atemprobleme

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

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

Es bedarf vieler Untersuchungen, um herauszufinden, ob ein Medikament ein unerwünschtes Ereignis verursacht. Wenn neue Medikamente untersucht werden, verfolgen die Wissenschaftler daher alle unerwünschten Ereignisse nach, die bei Teilnehmern auftreten, unabhängig davon, ob sie einen ursächlichen Zusammenhang mit dem Studienmedikament vermuten oder nicht.

In diesem Abschnitt sind die unerwünschten Ereignisse zusammengefasst, die während und bis zu 30 Tage nach der letzten Studienbehandlung auftraten. Weitere Informationen zu den unerwünschten Ereignissen, die in dieser Studie auftraten, finden Sie auf den Websites, die am Ende dieser Zusammenfassung aufgeführt sind.

Ein **unerwünschtes Ereignis** ist ein 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. Diese Probleme können durch das Studienmedikament verursacht sein oder auch nicht.

Bei wie vielen Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf?

	Dosis A 450 mg von 99 Teilnehmern	Dosis B 300 mg von 250 Teilnehmern	Dosis C 150 mg von 124 Teilnehmern	Dosis D 75 mg von 126 Teilnehmern	Dosis E 25 mg von 124 Teilnehmern	Placebo von 251 Teilnehmern
Teilnehmer mit mindestens 1 unerwünschten Ereignis	61 (62 %)	166 (66 %)	77 (62 %)	76 (60 %)	81 (65 %)	153 (61 %)
Teilnehmer mit mindestens 1 schwerwiegenden unerwünschten Ereignis	10 (10 %)	33 (13 %)	6 (5 %)	14 (11 %)	12 (10 %)	15 (6 %)
Teilnehmer, die die Studie aufgrund eines unerwünschten Ereignisses vorzeitig abbrechen	8 (8 %)	20 (8 %)	4 (3 %)	10 (8 %)	8 (7 %)	10 (4 %)
Tod beliebiger Ursache	0 (0 %)	2 (1 %)	0 (0 %)	2 (2 %)	3 (2 %)	0 (0 %)

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten auf?

Während dieser Studie verstarben 7 Teilnehmer:

- 2 Teilnehmer, die **Dosis B** (300 mg) einnahmen
- 2 Teilnehmer, die **Dosis D** (75 mg) einnahmen
- 3 Teilnehmer, die **Dosis E** (25 mg) einnahmen

Die häufigste Todesursache (4 Teilnehmer) waren Komplikationen durch COVID-19.

Bei 90 Teilnehmern traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf. Die folgende Tabelle zeigt die **häufigsten schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse**, die bei **mindestens 4** der 974 Teilnehmer (mindestens 0,4 %) aufgetreten sind:

	Dosis A 450 mg von 99 Teilnehmern	Dosis B 300 mg von 250 Teilnehmern	Dosis C 150 mg von 124 Teilnehmern	Dosis D 75 mg von 126 Teilnehmern	Dosis E 25 mg von 124 Teilnehmern	Placebo von 251 Teilnehmern
Verschlechterung der COPD Chronisch obstruktive Lungenerkrankung	5 (5 %)	9 (4 %)	1 (1 %)	5 (4 %)	2 (2 %)	5 (2 %)
Eine Art von Lungeninfektion Pneumonie	1 (1 %)	6 (2 %)	0 (0 %)	3 (2 %)	2 (2 %)	3 (1 %)
Schweres COVID-19 COVID-19	0 (0 %)	3 (1 %)	0 (0 %)	1 (1 %)	2 (2 %)	0 (0 %)
Lungenkrebs Bösartiger Lungentumor	1 (1 %)	3 (1 %)	0 (0 %)	0 (0 %)	0 (0 %)	0 (0 %)

Was waren die häufigsten nicht schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse?

Bei 446 Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf, die nicht schwerwiegend waren.

Die folgende Tabelle zeigt die **nicht schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse**, die bei **mindestens 26** der 974 Teilnehmer (mindestens 3 %) auftraten:

	Dosis A 450 mg von 99 Teilnehmern	Dosis B 300 mg von 250 Teilnehmern	Dosis C 150 mg von 124 Teilnehmern	Dosis D 75 mg von 126 Teilnehmern	Dosis E 25 mg von 124 Teilnehmern	Placebo von 251 Teilnehmern
Verschlechterung der COPD Chronisch obstruktive Lungenerkrankung	16 (16 %)	51 (20 %)	32 (26 %)	24 (19 %)	34 (27 %)	56 (22 %)
Erkältung Nasopharyngitis	4 (4 %)	12 (5 %)	5 (4 %)	10 (8 %)	6 (5 %)	10 (4 %)
Bakterielle Infektion von Nase, Rachen und Atemwegen Bakterielle Infektion der oberen Atemwege	3 (3 %)	12 (5 %)	4 (3 %)	4 (3 %)	4 (3 %)	9 (4 %)
Kopfschmerzen	4 (4 %)	11 (4 %)	4 (3 %)	4 (3 %)	4 (3 %)	6 (2 %)
Virusinfektion von Nase, Rachen und Atemwegen Virusinfektion der oberen Atemwege	3 (3 %)	8 (3 %)	3 (2 %)	3 (2 %)	3 (2 %)	7 (3 %)
HWI Harnwegsinfektion	3 (3 %)	8 (3 %)	3 (2 %)	5 (4 %)	2 (2 %)	5 (2 %)

Inwiefern war diese Studie hilfreich?

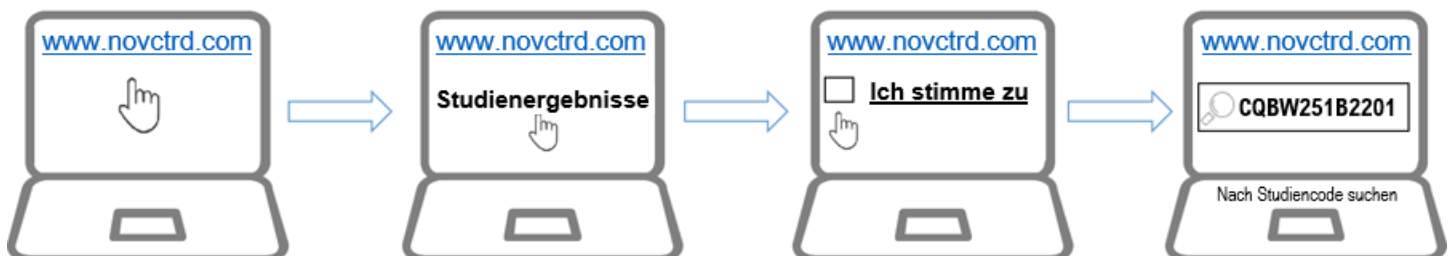
Diese Studie gab den Wissenschaftlern Aufschluss darüber, wie gut QBW251 wirkt, wenn es zusammen mit einer standardmäßigen Dreifachtherapie eingenommen wird, und wie sicher es bei Patienten mit COPD ist. Die Wissenschaftler kamen zu dem Schluss, dass nach 12 Wochen keine der QBW251-Dosen die Atmung der Teilnehmer verbessert hatte. Nach 24 Wochen jedoch konnten die Teilnehmer, die **Dosis B** (300 mg QBW251) einnahmen, leichter atmen und hatten weniger Symptome als die Teilnehmer, die Placebo einnahmen. Es ergaben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken.

Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung hatte Novartis keine weiteren Studien zu QBW251 bei Patienten mit COPD geplant.

Wo finde ich weitere Informationen zu dieser Studie?

Nähere Informationen zu den Ergebnissen und unerwünschten Ereignissen dieser Studie finden Sie in der wissenschaftlichen Zusammenfassung der Ergebnisse auf der englischsprachigen Webseite „Novartis Clinical Trial Results“ (www.novctrd.com).

Gehen Sie wie folgt vor, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen:



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

- www.clinicaltrials.gov. Geben Sie die NCT-Nummer NCT04072887 in das Suchfeld ein.
- www.clinicaltrialsregister.eu. Geben Sie die EudraCT-Nummer 2018-003197-28 in das Suchfeld ein.

Vollständiger Studientitel: Eine 24-wöchige, multizentrische, doppelblinde, placebokontrollierte Dosisfindungsstudie zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von oralem QBW251 bei Patienten mit COPD, die eine Dreifachtherapie (LABA/LAMA/ICS) erhalten

Vielen Dank!

Wir möchten uns ganz herzlich für Ihre Teilnahme an der Studie bedanken.
Als Teilnehmer an einer klinischen Studie gehören Sie zu einer großen
Gemeinschaft von Patienten weltweit. Sie haben dazu beigetragen, wichtige
medizinische Fragestellungen zu beantworten und neue medizinische
Behandlungen zu erproben.



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