

Zusammenfassung der Ergebnisse einer klinischen Studie

Eine Studie zur Beurteilung
der Sicherheit von CSJ117
bei Menschen mit schwerem
unkontrolliertem Asthma

Vielen Dank!

Vielen Dank an die Teilnehmenden der klinischen Studie zu unkontrolliertem Asthma. Jeder Teilnehmende hat den Forschenden geholfen mehr über **CSJ117** zu erfahren.

Novartis, der Auftraggeber dieser Studie, möchte die Teilnehmenden und die Öffentlichkeit über die aus den Ergebnissen dieser Studie gewonnenen wichtigen Erkenntnisse informieren.

Wir hoffen, dass diese Zusammenfassung dazu beiträgt, den Teilnehmenden ihre wichtige Rolle in der medizinischen Forschung zu verdeutlichen.

Informationen über die Studie

Studiennummer: CCSJ117A12201E1

Untersuchtes Medikament: CSJ117

Sponsor: Novartis

Wenn Sie an der Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an das ärztliche Fachpersonal oder die Mitarbeitenden des Prüfzentrums.

Diese Zusammenfassung bezieht sich nur auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie. Andere klinische Studien könnten zu anderen Ergebnissen kommen.

Was war das Hauptziel dieser Studie?

Asthma ist eine chronische Erkrankung der Lunge. Sie führt dazu, dass die **Atemwege anschwellen**, sich verengen und sich mit Schleim füllen. Das führt dazu, dass weniger Sauerstoff in die Lunge gelangen kann, was das Atmen erschwert. Häufige Symptome von Asthma sind:

- Husten
- Keuchende Atmung (Giemen)
- Kurzatmigkeit
- Engegefühl im Brustkorb

Bei manchen Menschen kann Asthma durch das Einatmen bestimmter Substanzen wie Pollen, Staub und Rauch verursacht werden. Diese Art von Asthma wird als allergisches Asthma bezeichnet.

Menschen mit Asthma haben häufig Asthmaanfälle. Bei einem Asthmaanfall schwellen die Atemwege an und entzünden sich, wodurch zusätzlicher Schleim abgesondert wird. Unbehandelt kann Asthma zu schwerwiegenden Problemen führen.

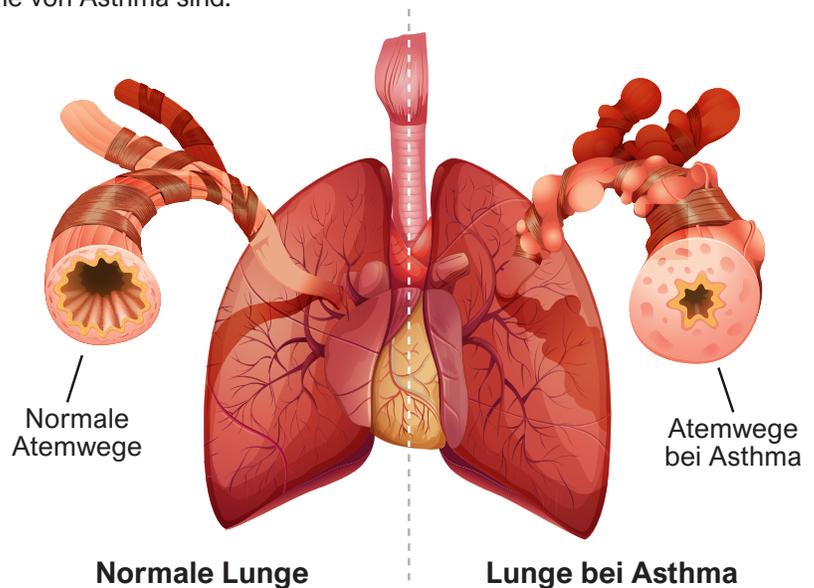
Es gibt kein Heilmittel gegen Asthma. Derzeit verfügbare Behandlungen helfen, die Symptome zu lindern, indem sie die Atemwege öffnen und das Atmen erleichtern. Menschen mit Asthma erhalten Medikamente in der Regel über einen Inhalator, der die Medikamente direkt in die Lunge befördert. Die am häufigsten verwendeten Behandlungen sind:

- **Inhalierte Kortikosteroide (ICS)** zur Reduzierung der Entzündung
- **Lang wirksame Beta-Agonisten (LABA)**, die die Atemwege öffnen und die Atmung erleichtern

Es kommt vor, dass diese Behandlungen nicht bei allen Patienten wirken oder bei manchen Patienten ihre Wirksamkeit verlieren. Daher besteht die Notwendigkeit, neue Behandlungsmethoden zu finden.

Von einem Protein mit der Bezeichnung **Thymus-Stroma-Lymphopoietin (TSLP)** wird angenommen, dass es Asthmasymptome verursacht. In der Lunge von Asthmapatienten finden sich üblicherweise hohe Mengen an TSLP. Das Studienmedikament **CSJ117** ist dazu ausgelegt, TSLP zu blockieren, wodurch die Asthmasymptome möglicherweise gelindert werden. CSJ117 ist derzeit nicht zur Behandlung von Asthma zugelassen.

Die Wirkungen von CSJ117 bei Menschen mit schwerem unkontrolliertem Asthma wurden bereits in einer **vorherigen Hauptstudie, CCSJ117A12201C**, untersucht. In dieser Verlängerungsstudie wurden Teilnehmende aus der Hauptstudie von den Forschern weiterbehandelt, um mehr über die Sicherheit von CSJ117 bei Anwendung über einen längeren Zeitraum zu erfahren. In beiden Studien wendeten die Teilnehmenden weiterhin durchgehend eine Kombination aus ICS und LABA zur Behandlung ihres Asthmas an.



Die Forschenden wollten vor allem die folgende Hauptfrage beantworten:

- Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf und bei wie vielen traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf?
 - ↳ Ein **unerwünschtes Ereignis** ist ein Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.

Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im September 2021 und endete im September 2022. Insgesamt dauerte sie 1 Jahr. Die Studie war so geplant, dass jeder Teilnehmende bis zu 36 Wochen teilnahm.

Alle Teilnehmenden in dieser Studie wurden aufgenommen, nachdem sie die Behandlung in der vorherigen Hauptstudie **CCSJ117A12201C** abgeschlossen hatten. Sowohl diese Verlängerungsstudie als auch die Hauptstudie endeten aufgrund der Entscheidung des Sponsors früher als geplant. Die Entscheidung wurde nicht aufgrund von Sicherheitsbedenken im Zusammenhang mit CSJ117 getroffen.

Nach dem Ende der Studie erstellten die Forschenden einen Bericht über die Studienergebnisse. Das vorliegende Dokument enthält eine Zusammenfassung dieses Berichts.

Wer nahm an dieser Studie teil?



In dieser Studie wurden 136 Teilnehmende mit schwerem unkontrolliertem Asthma behandelt. Das Alter der Teilnehmenden lag zwischen 19 und 75 Jahren. Das Durchschnittsalter betrug 51 Jahre.

Nachstehend ist die Anzahl der Teilnehmenden nach Geschlecht und Hautfarbe aufgeführt.

Geschlecht

51 Männlich

85 Weiblich

Hautfarbe

53 Asiatisch

4 Schwarz oder afroamerikanisch

79 Weiß

Es wurden 136 Teilnehmende aus **14 Ländern** behandelt. Die Karte unten zeigt die Anzahl der Teilnehmenden je Land.



Die **Voraussetzung für die Teilnahme** an der Studie war:

- Abschluss der Behandlungsphase in der vorherigen Hauptstudie CCSJ117A12201C.

Die **Ausschlusskriterien für die Teilnahme** an der Studie waren:

- Entwicklung eines schwerwiegenden gesundheitlichen Problems während der Hauptstudie.
- Auftreten eines schwerwiegenden unerwünschten Ereignisses im Zusammenhang mit CSJ117 während der Hauptstudie.

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmenden?

Die Forschenden untersuchten die folgenden Behandlungen:



CSJ117: Teilnehmende erhielten eine der folgenden Dosen: **0,5, 1, 2, 4 oder 8 Milligramm (mg)**. Die Dosen wurden als Kapseln einmal täglich über einen Inhalator angewendet. Ein Inhalator ist ein Gerät, mit dem Medikamente durch Einatmen direkt in die Lunge abgegeben werden.



Placebo: Sieht aus wie das Studienmedikament, enthält aber keinen Wirkstoff. Die Verwendung eines Placebos hilft Forschenden, die Wirkung des Prüfmedikaments besser zu verstehen.

Die Teilnehmenden konnten weiterhin ihre regulären Asthmamedikamente, ICS und LABA, zusammen mit den Studienmedikamenten anwenden. Sie erhielten außerdem ein Notfallmedikament, falls eine sofortige Symptomlinderung erforderlich war.

In dieser Studie wussten die Teilnehmenden, Studienärzte/-ärztinnen und das Studienpersonal nicht, welche Dosen von CSJ117 oder Placebo die Teilnehmenden erhielten. Die Durchführung einer Studie auf diese Weise trägt dazu bei, sicherzustellen, dass die Ergebnisse bei allen Behandlungen fair beurteilt werden.

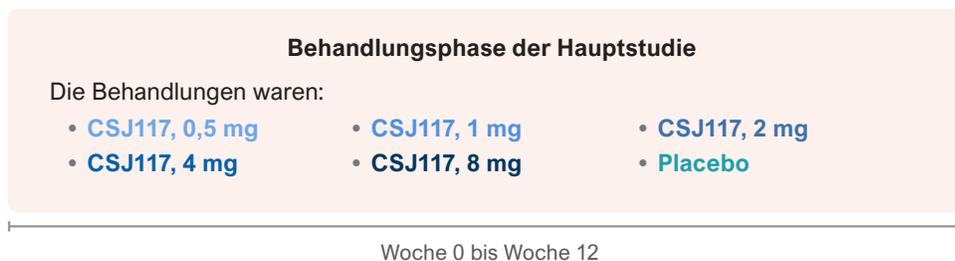
Welchen Ablauf hatte diese Studie?

Vor der Behandlung

Hauptstudie

In der vorhergehenden Hauptstudie erhielten die Teilnehmenden 12 Wochen lang **CSJ117** oder **Placebo**. Die Teilnehmenden wurden per Computer im Zufallsverfahren 1 von 6 Behandlungen zugewiesen.

Es gab außerdem eine optionale 12-wöchige Nachbeobachtungsphase, in der die Teilnehmenden keine Studienmedikamente erhielten. Nach Abschluss der Behandlung in der Hauptstudie hatten die Teilnehmenden die Möglichkeit, mit dieser Verlängerungsstudie weiterzumachen.



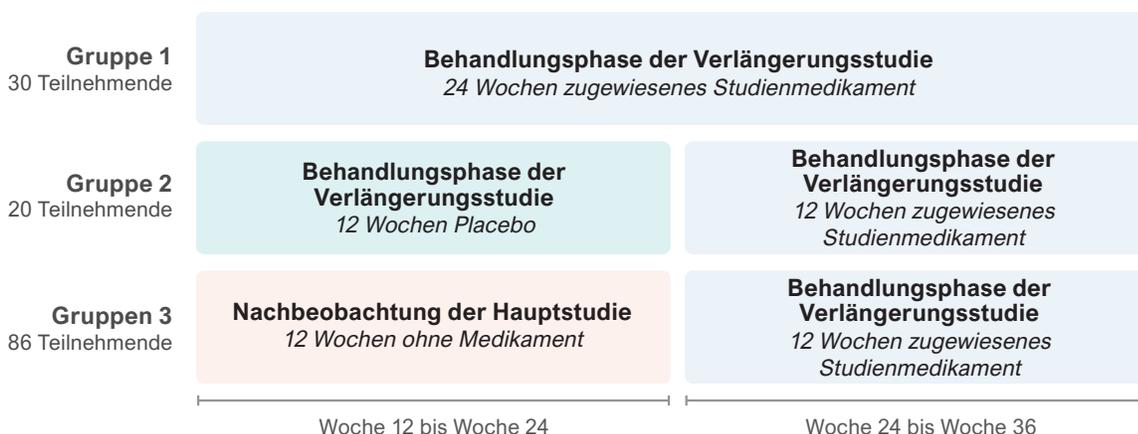
Während der Behandlung

Bis zu 24 Wochen

In der Verlängerungsstudie wurden die Teilnehmenden in **3 Gruppen** aufgeteilt. Die Teilnehmenden erhielten weiterhin die gleiche Dosis und das gleiche Medikament wie in der Hauptstudie.

Gruppe 1 und **Gruppe 2** wurden aus der Behandlungsphase der Hauptstudie direkt in die Behandlungsphase **der Verlängerungsstudie** übernommen.

Gruppe 3 schloss die Nachbeobachtung in der Hauptstudie ab, bevor die Behandlung in der Verlängerungsstudie begonnen wurde.



Nach der Behandlung

Bis zu 12 Wochen

Gruppe
1, 2, 3

Nachbeobachtung der Verlängerungsstudie
12 Wochen ohne Medikament

Die Teilnehmenden blieben nach ihrer letzten Dosis des Studienmedikaments weitere 12 Wochen zur Nachbeobachtung in der Studie. Die Forschenden untersuchten die Lungenfunktion der Teilnehmenden und erfassten medizinische Probleme.

Woche 36 bis Woche 48

Was waren die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie?

Medizinische Probleme, die in klinischen Studien auftreten, werden als **unerwünschte Ereignisse** bezeichnet.

Das ärztliche Studienpersonal führt eine Nachbeobachtung aller unerwünschter Ereignisse durch, die in einer Studie auftreten, auch wenn es der Meinung ist, dass die unerwünschten Ereignisse nicht mit den Studienbehandlungen in Zusammenhang stehen.

Es sind viele Studien erforderlich, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung ein unerwünschtes Ereignis verursacht.

Unerwünschte Ereignisse können auch bei Teilnehmenden auftreten, die Placebo erhalten. Manchmal kann der Körper darauf reagieren, wenn ein/e Teilnehmende/r glaubt, ein echtes Medikament zu erhalten.

Dieser Abschnitt ist eine Zusammenfassung der unerwünschten Ereignisse, die vom Beginn der Behandlung in der Hauptstudie bis 12 Wochen nach der letzten Dosis in dieser Studie (Woche 48) auftraten.

Ein **unerwünschtes Ereignis** ist:

- jegliches **Anzeichen oder Symptom**, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt
- Es gilt als **schwerwiegend**, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht, einen Krankenhausaufenthalt des/der Teilnehmenden erforderlich macht oder bei dem/der Teilnehmenden zum Tod führt.

Unerwünschte Ereignisse **können** durch die Behandlungen in der Studie verursacht werden oder **auch nicht**.



Bei den Teilnehmenden traten eine geringe Anzahl an unerwünschten Ereignissen auf. Die Ergebnisse waren in allen Behandlungsgruppen und bei allen Dosierungen des Studienmedikaments ähnlich. Von 136 Teilnehmenden:

- Trat bei 1 Teilnehmenden ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf. Dabei handelte es sich um das einzige Ereignis, das einen Krankenhausaufenthalt erforderlich machte.
- Brach 1 Teilnehmenden die Behandlung aufgrund eines unerwünschten Ereignisses ab.
- Es gab keine Todesfälle unter den Teilnehmenden.

Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf und bei wie vielen traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf?

Zusammenfassung der unerwünschten Ereignisse

Teilnehmende:	CSJ117, 0,5 mg 15 Teilnehmende	CSJ117, 1 mg 13 Teilnehmende	CSJ117, 2 mg 15 Teilnehmende	CSJ117, 4 mg 32 Teilnehmende	CSJ117, 8 mg 33 Teilnehmende	Placebo 28 Teilnehmende
Mit mindestens 1 unerwünschten Ereignis	6 von 15 (40 %)	8 von 13 (62 %)	11 von 15 (73 %)	17 von 32 (53 %)	17 von 33 (52 %)	16 von 28 (57 %)
Mit mindestens 1 schwerwiegenden unerwünschten Ereignis	0 von 15 (0 %)	0 von 13 (0 %)	0 von 15 (0 %)	1 von 32 (3 %)	0 von 33 (0 %)	0 von 28 (0 %)
Beendeten die Behandlung aufgrund eines unerwünschten Ereignisses	0 von 15 (0 %)	0 von 13 (0 %)	0 von 15 (0 %)	0 von 32 (0 %)	0 von 33 (0 %)	1 von 28 (4 %)
Verstarben während der Studie	0 von 15 (0 %)	0 von 13 (0 %)	0 von 15 (0 %)	0 von 32 (0 %)	0 von 33 (0 %)	0 von 28 (0 %)

- Lediglich bei 1 Teilnehmenden trat während der Studie ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf.
- Ein/e Teilnehmende/r in **Gruppe 3** unter Behandlung mit **CSJ117 4 mg** hatte eine Lungeninfektion (Lungenentzündung).
- Das Ereignis trat zwischen Woche 24 und Woche 36 auf.

Wie viele Teilnehmende beendeten die Behandlung aufgrund unerwünschter Ereignisse bzw. schwerwiegender unerwünschter Ereignisse?

- Lediglich 1 Teilnehmende/r brach die Behandlung aufgrund eines unerwünschten Ereignisses während der Studie ab.
- Bei 1 Teilnehmenden in **Gruppe 1**, der/die Placebo erhielt, trat ein Anstieg eines Proteins mit der Bezeichnung Lipase im Blut auf (moderate Erhöhung des Lipase-Werts).

Wie viele Teilnehmende hatten während der Studie einen Krankenhausaufenthalt?

In dieser Studie war ein Krankenhausaufenthalt definiert als jeder Krankenhausaufenthalt, der eine Übernachtung erforderte, oder als Besuch in der Notaufnahme, der länger als 24 Stunden dauerte.

- Lediglich 1 Teilnehmende/r hatte während der Studie einen Krankenhausaufenthalt.
- Der/die Teilnehmende/n in **Gruppe 3** unter Behandlung mit **CSJ117 4 mg** hatte eine Lungeninfektion und wurde in ein Krankenhaus aufgenommen.
- Das Ereignis trat zwischen Woche 24 und Woche 36 auf. und war nach 11 Tagen abgeklungen.

Wie viele Teilnehmende verstarben während der Studie?

Es gab keine Todesfälle in der Studie.

Welche sonstigen unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

Die nachfolgende Tabelle zeigt die anderen unerwünschten Ereignisse, die bei mindestens 3 % der Teilnehmenden auftraten.

Nicht schwerwiegende unerwünschte Ereignisse – Alle Gruppen						
	CSJ117, 0,5 mg 15 Teilnehmende	CSJ117, 1 mg 13 Teilnehmende	CSJ117, 2 mg 15 Teilnehmende	CSJ117, 4 mg 32 Teilnehmende	CSJ117, 8 mg 33 Teilnehmende	Placebo 28 Teilnehmende
Verschlechterung des Asthmas Asthma	1 von 15 (7%)	2 von 13 (15%)	5 von 15 (33%)	4 von 32 (13%)	3 von 33 (9%)	5 von 28 (18%)
COVID-19	2 von 15 (13%)	1 von 13 (8%)	0 von 15 (0%)	2 von 32 (6%)	2 von 33 (6%)	2 von 28 (7%)
Entzündung von Nase und Rachen Nasopharyngitis	0 von 15 (0%)	1 von 13 (8%)	1 von 15 (7%)	0 von 32 (0%)	2 von 33 (6%)	3 von 28 (11%)
Entzündung der Nebenhöhlen Sinusitis	1 von 15 (7%)	1 von 13 (8%)	1 von 15 (7%)	1 von 32 (3%)	2 von 33 (6%)	1 von 28 (4%)
Infektion der Nase, der Nebenhöhlen und des oberen Rachens Infektion der oberen Atemwege	1 von 15 (7%)	0 von 13 (0%)	0 von 15 (0%)	3 von 32 (9%)	1 von 33 (3%)	1 von 28 (4%)
Rückenschmerzen	1 von 15 (7%)	0 von 13 (0%)	1 von 15 (7%)	2 von 32 (6%)	1 von 33 (3%)	0 von 28 (0%)

Welche Erkenntnisse brachte diese Studie?

Diese Studie gab den Forschenden Aufschluss über die Sicherheit von CSJ117 bei Menschen mit schwerem unkontrolliertem Asthma.



Die Forschenden zogen folgende Schlussfolgerungen:

- Die Behandlung mit **CSJ117 in Dosierungen von bis zu 8 mg** war im Allgemeinen sicher, wenn sie ergänzend zu einer bestehenden Asthma-Standardtherapie angewendet wurde. Es kamen keine neuen Sicherheitsbedenken auf.

Da die Studie vorzeitig endete, konnten die Forschenden aufgrund der geringen Anzahl an Teilnehmenden keine sonstigen Schlussfolgerungen ziehen. CSJ117 wird nicht länger als mögliche Asthma-Behandlung untersucht und es sind keine weiteren Studien mit CSJ117 geplant.

Wo kann ich mehr über diese Studie erfahren?

Weitere Informationen zu den Ergebnissen und unerwünschten Ereignissen in dieser Studie sind der wissenschaftlichen Zusammenfassung der Ergebnisse auf der Website von Novartis mit Ergebnissen aus klinischen Studien, www.novctrd.com, zu entnehmen.

Gehen Sie folgenderweise vor, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen:



Rufen Sie www.novctrd.com auf.



Klicken Sie auf **Clinical Trial Results** (Ergebnisse klinischer Studien)



Stimmen Sie den Nutzungsbedingungen zu, indem Sie auf **I agree** (Ich stimme zu) klicken.



Suchen Sie nach **CCSJ117A12201E1**

Weitere Informationen über diese Studie finden Sie auf den folgenden Websites:

- clinicaltrials.gov – suchen Sie nach der Nummer **NCT04946318**
- clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search – suchen Sie nach der Nummer **2020-002341-42**

Wenn weitere Studien geplant sind, werden sie auf den oben genannten öffentlichen Websites aufgeführt. Suchen Sie gegebenenfalls nach den Stichworten „CSJ117“ oder „Asthma“.

Vollständiger Titel der klinischen Studie: A 24-week, multicenter, randomized, double-blind, parallel-arm, placebo-controlled extension study to assess the safety of CSJ117, when added to existing standard of care asthma therapy in patients ≥ 18 years of age who completed study CCSJ117A12201C (Eine 24-wöchige, multizentrische, randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Verlängerungsstudie mit Parallelarmen zur Beurteilung der Sicherheit von CSJ117 bei zusätzlicher Anwendung zu einer bestehenden Asthma-Standardtherapie bei Patienten ≥ 18 Jahren, die die Studie CCSJ117A12201C abgeschlossen haben)



Novartis ist ein weltweit aufgestelltes Unternehmen im Bereich der Gesundheitsversorgung mit Sitz in der Schweiz, das Lösungen für bestehende und neue Bedürfnisse von Patienten auf der ganzen Welt anbietet.

1-888-669-6682 (US); +41-61-324 1111 (EU)

www.novartisclinicaltrials.com