

# Zusammenfassung der Studienergebnisse

---

Eine klinische Studie zur Untersuchung der Wirkung und Sicherheit von DFV890 bei Patient\*innen mit familiärem kälteinduziertem autoinflammatorischem Syndrom (FCAS)

## Vielen Dank!

Wir möchten allen Teilnehmenden herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu FCAS teilgenommen haben. Alle Teilnehmenden haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über das Studienmedikament **DFV890** gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist wichtig, allen Teilnehmenden und anderen Interessierten Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen. Wir möchten den Teilnehmenden damit zeigen, welchen wichtigen Beitrag sie für die medizinische Forschung leisten.

### Informationen zur Studie

**Studiencode:** CDFV890A12201

**Studienmedikament:** DFV890

**Auftraggeber:** Novartis

- Wenn Sie an der Studie teilgenommen und Fragen zu den Ergebnissen dieser Studie haben, wenden Sie sich bitte an den\*die Studienärzt\*in oder die Mitarbeitenden am Studienzentrum.
- Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich nur auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie. Andere klinische Studien können zu abweichenden Ergebnissen kommen.

# Was war der vorrangige Zweck dieser Studie?

Im Rahmen dieser Studie sollten neue Erkenntnisse über die Wirkung und Sicherheit von DFV890 bei Patient\*innen mit familiärem kälteinduziertem autoinflammatorischem Syndrom, kurz FCAS, gewonnen werden.



**FCAS** ist eine seltene Erkrankung, bei der das Immunsystem auf niedrige Temperaturen überreagiert.

Das **Immunsystem** besteht aus Zellen und Eiweißstoffen (Proteinen), die dem Körper bei der Bekämpfung von Infektionen und anderen möglichen Gefahren helfen.

Wenn Menschen mit FCAS Kälte ausgesetzt sind, treten Symptome wie Fieber, Ausschlag, Gelenk- und Muskelschmerzen sowie Bindehautentzündung auf. Manche Menschen mit FCAS bekommen auch Kopfschmerzen und fühlen sich müde oder energielos, selbst wenn sie nicht Kälte ausgesetzt sind.



**DFV890** ist ein Studienmedikament, das entwickelt wurde, um einen bestimmten Teil des Immunsystems zu blockieren. Möglicherweise kann die Hemmung dieses Teils des Immunsystems dieses daran hindern, bei Kälte zu stark zu reagieren.

## Was bedeutet "autoinflammatorisch"?

"Autoinflammatorisch" bedeutet, dass die weißen Blutkörperchen des **Immunsystems** fälschlicherweise das eigene gesunde Gewebe des Körpers angreifen.



### Diese Studie sollte folgende Hauptfragen beantworten:

- Reagierte das Immunsystem der Teilnehmenden weniger stark auf Kälte, nachdem diese DFV890 eingenommen hatten?
- Welche unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden während dieser Studie auf?
  - ↳ Ein **unerwünschtes Ereignis** ist jedes Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.

# Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im September 2021 und endete im Mai 2023.

# Wer nahm an dieser Studie teil?



In dieser Studie wurden insgesamt 4 Personen mit FCAS behandelt – 3 Männer und 1 Frau. Die Teilnehmenden waren zwischen 28 und 62 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 41 Jahren. Die Anzahl der Teilnehmenden nach ethnischer Zugehörigkeit ist unten dargestellt.

## Ethnische Zugehörigkeit

3

Weiß

1

Sonstiges

Die Teilnehmenden konnten unter folgenden Voraussetzungen in die Studie aufgenommen werden:

- Sie hatten die Anwendung bestimmter Medikamente gegen ein überaktives Immunsystem vor Beginn der Teilnahme an der Studie beendet.
- Sie litten nicht unter Erkrankungen, die das Immunsystem beeinträchtigen.

4 Teilnehmende aus 3 Ländern erhielten eine Behandlung. Die Studie wurde in folgenden Ländern durchgeführt:

- Frankreich | 2 Teilnehmende
- Deutschland | 1 Teilnehmende\*r
- USA | 1 Teilnehmende\*r

# Welche Behandlung erhielten die Teilnehmenden?

In dieser Studie wurde folgende Behandlung angewendet:



**DFV890:** Die Teilnehmenden nahmen zweimal täglich 100 Milligramm (mg) als Tabletten ein.

Begleitend zu der obigen Behandlung konnten die Teilnehmenden andere Medikamente gegen FCAS anwenden, wie die Schmerzmittel Paracetamol und Ibuprofen.

In dieser Studie war den Teilnehmenden, den Studienärzt\*innen und dem Studienteam jeweils bekannt, welche Behandlung die Teilnehmenden erhielten. In dieser Studie erhielten alle Teilnehmenden DFV890.

## Was geschah während der Studie?

### Vor der Behandlung **Bis zu 1 Jahr**



Die FCAS-Symptome und der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmenden wurden untersucht, um sicherzustellen, dass sie an der klinischen Studie teilnehmen konnten.

### Während der Behandlung **4 Tage**

Die 4 Teilnehmenden nahmen DFV890 für 3 Tage zweimal täglich in Form von Tabletten ein. Am Morgen des 4. Tages nahmen die Teilnehmenden DFV890 einmal ein.



Die FCAS-Symptome und der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmenden wurden untersucht.

### Nach der Behandlung **Etwa 1 Monat**

Nach der Behandlung kamen die Teilnehmenden noch 1 Mal in ihr Studienzentrum, um ihre FCAS-Symptome und den allgemeinen Gesundheitszustand untersuchen zu lassen. Außerdem wurde der Gesundheitszustand der Teilnehmenden etwa 30 Tage nach der

# Was waren die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie?

## Reagierte das Immunsystem der Teilnehmenden weniger stark auf Kälte, nachdem diese DFV890 eingenommen hatten?



Die Zahl der Teilnehmenden war zu gering. Deswegen konnte nicht beurteilt werden, ob das Immunsystem der Teilnehmenden weniger stark auf Kälte reagierte, nachdem diese DFV890 eingenommen hatten.

Während der Studie wurden die Teilnehmenden 2 Mal einem **Kälteprovokationstest** ausgesetzt:

- 1 Mal vor der Behandlung
- 1 Mal, nachdem sie 4 Tage lang DFV890 eingenommen hatten

Bei jedem Kälteprovokationstest hielten sich die Teilnehmenden 45 Minuten in leichter Bekleidung, wie T-Shirt und kurzer Hose, in einem kalten Raum auf. Die Temperatur in diesem Raum betrug etwa 4 °C.

Vor und nach jedem Kälteprovokationstest wurde die Zahl der **weißen Blutkörperchen** in den Blutproben der Teilnehmenden gemessen. Dann wurde der Unterschied bei der Zahl der weißen Blutkörperchen zwischen den 2 Kälteprovokationstests verglichen.

Es zeigte sich, dass die Zahl der weißen Blutkörperchen nach dem zweiten Kälteprovokationstest, nachdem die Teilnehmenden DFV890 eingenommen hatten, weniger stark stieg. Allerdings kam man zu dem Schluss, dass die Zahl der Teilnehmenden zu gering war, um beurteilen zu können, ob dieser Unterschied von Bedeutung war.

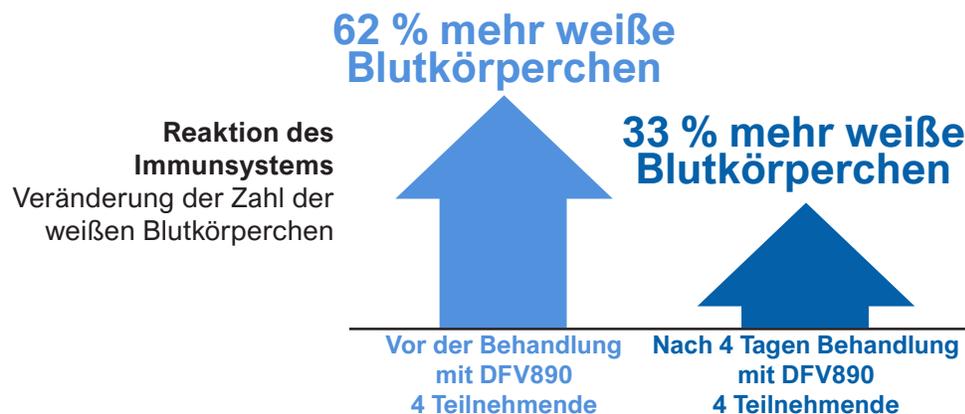
### Was sind weiße Blutkörperchen?

Weißer Blutkörperchen sind Teil des Immunsystems und helfen dem Körper bei der Bekämpfung von Infektionen und anderen möglichen Gefahren.

Bei FCAS reagiert das Immunsystem zu stark auf niedrige Temperaturen, indem es zu viele weiße Blutkörperchen produziert.

## Veränderung in der Reaktion des Immunsystems der Teilnehmenden auf Kälte

Die Grafik unten zeigt, wie stark die Zahl der weißen Blutkörperchen der Teilnehmenden nach jedem Kälteprovokationstest stieg.



Ein **niedrigerer** Anteil der weißen Blutkörperchen bedeutet, dass das Immunsystem **weniger** stark auf die Kälte reagierte.

# Was waren weitere Ergebnisse dieser Studie?

## Hatten die Teilnehmenden nach der Einnahme von DFV890 weniger schwere FCAS-Symptome?



Insgesamt waren die FCAS-Symptome der Teilnehmenden nach der Einnahme von DFV890 weniger schwer. Allerdings war die Zahl der Teilnehmenden zu gering, um beurteilen zu können, ob diese Veränderung bedeutsam war.

Um dies zu ermitteln, stuften die Studienärzt\*innen und die Teilnehmenden die FCAS-Symptome der Teilnehmenden anhand von Fragebogen vor und nach den 2 Kälteprovokationstests ein.

# Welche unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

Während einer Studie werden alle **unerwünschten Ereignisse** dokumentiert und nachverfolgt, unabhängig davon, ob diese durch das untersuchte Medikament verursacht sein konnten oder nicht.

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

In diesem Abschnitt sind die unerwünschten Ereignisse zusammengefasst, die ab der ersten Dosis des Studienmedikaments der Teilnehmenden bis 30 Tage nach der letzten Dosis oder der letzten Studiervisite auftraten.

### Ein **unerwünschtes Ereignis**:

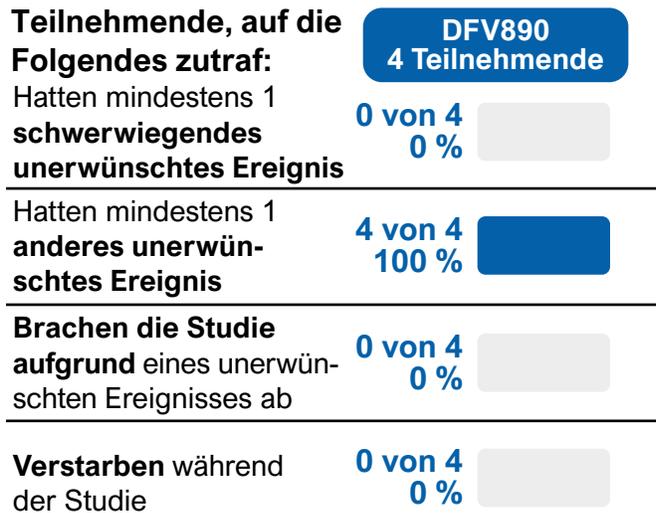
- ist jedes **Anzeichen oder Symptom**, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.
- gilt als **schwerwiegend**, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht, eine Versorgung der Teilnehmenden im Krankenhaus erforderlich macht oder zum Tod führt.

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



Bei allen 4 Teilnehmenden trat während der Studie mindestens ein unerwünschtes Ereignis auf. Bei keinen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf, die als schwerwiegend eingestuft wurden. Keine\*r der Teilnehmenden brach die Studie ab, weil ein unerwünschtes Ereignis aufgetreten war. Im Rahmen dieser Studie ergaben sich keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf DFV890.

## Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf?



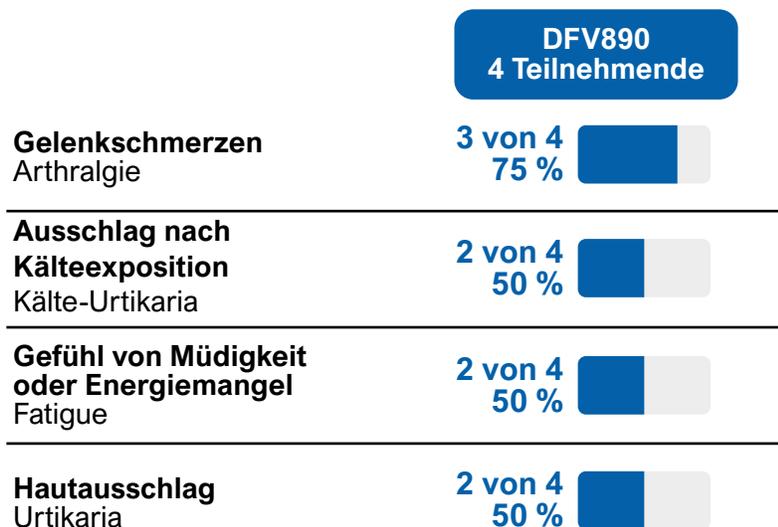
## Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

Bei keinem\*r der Teilnehmenden traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf, auch keine Todesfälle.

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

Bei allen 4 Teilnehmenden traten weitere unerwünschte Ereignisse auf.

Die nachstehende Tabelle zeigt die anderen unerwünschten Ereignisse, die **bei mindestens 2** Teilnehmenden im Verlauf der Behandlungs- und Nachbeobachtungsphase auftraten. Weitere unerwünschte Ereignisse traten bei weniger Teilnehmenden auf.



# Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Es wurden neue Erkenntnisse über die Wirkung und das Sicherheitsprofil von DFV890 bei Menschen mit FCAS gesammelt.



Da es zu wenige Teilnehmende gab, konnte nicht abschließend beurteilt werden, ob:

- das Immunsystem der Teilnehmenden weniger stark reagierte, nachdem diese DFV890 eingenommen hatten
- ihre FCAS-Symptome nach der Einnahme von DFV890 weniger schwer waren

Im Rahmen dieser Studie ergaben sich keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf DFV890.

Die Ergebnisse vieler Studien werden ausgewertet, um neue Erkenntnisse über die Wirkung und Sicherheit neuer Behandlungen zu gewinnen. Es sind keine weiteren Studien zu DFV890 bei Menschen mit FCAS geplant.

# Wo finde ich weitere Informationen über diese 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 Database“ [www.novctrd.com](http://www.novctrd.com).

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



Internetseite aufrufen:  
[www.novctrd.com](http://www.novctrd.com)

Auf **Clinical Trial Results** klicken

Die Nutzungsbedingungen akzeptieren  
 I Accept

Suchen Sie nach **CDFV890A12201**

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

- [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) – nach dem Code **NCT04868968** suchen
- [clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search](http://clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search) – nach dem Code **2020-005948-33** suchen

**Vollständiger Studientitel:** Eine offene, einarmige Phase-II-Studie zu DFV890 für die Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit bei Teilnehmenden mit familiärem kälteinduziertem autoinflammatorischem Syndrom (FCAS)



Novartis ist ein weltweit tätiges Gesundheitsunternehmen mit Sitz in der Schweiz, das Lösungen für die sich verändernden Bedürfnisse von Patient\*innen auf der ganzen Welt anbietet.

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

[www.novartis.com/clinicaltrials](http://www.novartis.com/clinicaltrials)