

# Zusammenfassung der Studienergebnisse

---

Eine klinische Studie zum Vergleich der Wirkung von ETB115 in Kombination mit Dexamethason und Dexamethason allein bei Menschen mit Immunthrombozytopenie

## Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmenden herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu Immunthrombozytopenie teilgenommen haben.

Alle Studienteilnehmenden haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über das Studienmedikament **ETB115**, auch **Eltrombopag** genannt, gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist wichtig, allen Studienteilnehmenden und interessierten Patient\*innen 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:** CETB115JDE01

**Studienmedikament:** **ETB115**  
auch Eltrombopag genannt

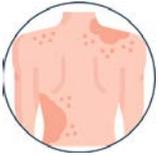
**Sponsor:** Novartis

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 auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie. Andere klinische Studien können zu abweichenden Ergebnissen kommen.

# Was war der Zweck dieser Studie?

Im Rahmen dieser Studie sollte die Wirkung von **ETB115** in Kombination mit Dexamethason mit der von Dexamethason allein bei Teilnehmenden mit neu diagnostizierter **Immunthrombozytopenie**, kurz **ITP**, verglichen werden.



Eine **Immunthrombozytopenie (ITP)** ist eine Erkrankung, die sich durch eine niedrige Zahl an Blutplättchen auszeichnet. Niedrige Zahlen an Blutplättchen haben zur Folge, dass Blutgerinnsel nicht richtig gebildet werden, was zu einer Blutungsstörung führt. Zu den Symptomen gehören Blutergüsse und Blutungen, insbesondere unter der Haut.



**Blutplättchen** sind winzige Zellfragmente im Blut, die eine wichtige Rolle bei der Blutgerinnung spielen.



**ETB115**, auch Eltrombopag genannt, ist für die Behandlung von **ITP** zugelassen. Es aktiviert einen Eiweißstoff (Protein) namens Thrombopoetin-Rezeptor an der Oberfläche spezieller Zellen im Knochenmark, die hämatopoetische Stammzellen genannt werden. Dies hilft diesen speziellen Zellen dabei, zu wachsen, sich zu teilen und mehr Blutplättchen im Körper zu produzieren.



**Studienmedikament**  
**ETB115**, auch  
Eltrombopag genannt  
**Ausgesprochen**  
El-trom-bo-pag



**Dexamethason** ist ein Steroid, das häufig zur Behandlung vieler verschiedener Krankheiten angewendet wird. Es ist die am häufigsten zuerst angewendete Behandlung bei **ITP**. Steroide können helfen, die Blutplättchenzahl zu erhöhen und Blutungen zu verringern.

In dieser Studie sollten Erkenntnisse über die Wirkungen der Anwendung von **ETB115** zusammen mit **Dexamethason** über einen kurzen Zeitraum mit den Wirkungen der Anwendung von **Dexamethason** allein über einen längeren Zeitraum gewonnen werden.



### Diese Studie sollte folgende Hauptfragen beantworten:

- Wie viele Teilnehmende zeigten 1 Jahr nach Beginn der Behandlung mit **ETB115** in Kombination mit **Dexamethason** im Vergleich zu **Dexamethason** allein weiterhin ein **Ansprechen**?
  - ↳ **Ansprechen** auf die Behandlung bedeutet, dass eine bestimmte Blutplättchenzahl nach Absetzen der Behandlung aufrechterhalten bleibt, ohne dass mittelschwere oder schwere Blutungsereignisse auftreten.
- Welche unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden während dieser Studie auf?
  - ↳ Ein **unerwünschtes Ereignis** ist ein ungewolltes Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.

## Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im Oktober 2020 und endete im September 2023. Die Teilnehmenden konnten etwa 1 Jahr an der Studie teilnehmen.

Diese Studie wurde mit weniger Teilnehmenden als ursprünglich geplant abgeschlossen. Die Entscheidung, diese Studie mit weniger Teilnehmenden durchzuführen, wurde aufgrund der langsamen Aufnahme von Teilnehmenden und nicht aufgrund von Sicherheitsbedenken getroffen.

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

## Wer nahm an dieser Studie teil?



In diese Studie wurden 26 Teilnehmende mit **Immunthrombozytopenie (ITP)** aufgenommen. Die Teilnehmenden waren zwischen 27 und 80 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 53 Jahren.

Alle Teilnehmenden waren aus Deutschland. Die Anzahl der Teilnehmenden nach Geschlecht und ethnischer Zugehörigkeit ist unten dargestellt.

## Geschlecht

14 Männer

12 Frauen

## Ethnische Zugehörigkeit

24 Weiße

2 Andere

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

- Alter: mindestens 18 Jahre,
- Diagnose von **ITP** innerhalb von 3 Monaten vor Aufnahme in die Studie,
- niedrige Blutplättchenzahl, die eine Behandlung erforderlich machte,
- bisher keine Behandlung der **ITP**,
- keine Blutungsprobleme, die lebensbedrohlich waren.

## Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmenden?

In dieser Studie wurden folgende Behandlungen angewendet:



**ETB115:** Die Teilnehmenden nahmen während dieser Studie einmal täglich eine Tablette über den Mund ein.

Die Anfangsdosis von **ETB115** lag bei 50 Milligramm (mg) einmal täglich. Abhängig von ihren Blutplättchenwerten konnten die Teilnehmenden während dieser Studie bis zu 75 mg **ETB115** einmal täglich erhalten.



**Dexamethason:** Die Teilnehmenden nahmen an den ersten 4 Tagen jedes Behandlungszyklus einmal täglich eine 40 mg-Tablette über den Mund ein. In dieser Studie dauerte ein Behandlungszyklus 14 bis 28 Tage.

Ein **Behandlungszyklus** ist ein Behandlungszeitraum, der nach einer festgelegten Anzahl von Tagen wiederholt werden kann.

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

# Was geschah während der Studie?

## Vor der Behandlung

**Bis zu 14 Tage**



Die **ITP** und der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmenden wurden untersucht, um sicherzustellen, dass sie an der klinischen Studie teilnehmen konnten.

## Während der Behandlung

**Bis zu 1 Jahr**

Die Teilnehmenden wurden nach dem Zufallsprinzip einer der folgenden Gruppen zugeteilt. Weder die Teilnehmenden noch die Ärzt\*innen konnten entscheiden, welcher Gruppe die Teilnehmenden zugeteilt wurden.



### Gruppe 1: 13 Teilnehmende

Die Teilnehmenden nahmen für etwa 6 Monate einmal täglich eine **ETB115** Tablette ein und erhielten 1 Zyklus **Dexamethason**-Tabletten für 4 Tage.



### Gruppe 2: 13 Teilnehmende

**Dexamethason**-Tabletten allein für bis zu 3 Zyklen, die jeweils 14 bis 28 Tage dauerten.



Abhängig von den Blutplättchenwerten und dem Ansprechen der Teilnehmenden auf die Behandlung konnten die Studienärzt\*innen die **ETB115**-Dosis erhöhen oder senken oder die Behandlung mit **ETB115** oder **Dexamethason** abbrechen.



Einige Teilnehmende konnten abhängig von ihren Blutplättchenwerten die ihnen zugeteilte Behandlung fortsetzen oder bis zu 1 Jahr während der Studie die Behandlung wechseln.

## Nach der Behandlung

**1 Monat nach der letzten Dosis**



Die Teilnehmenden kamen zur Überprüfung ihres allgemeinen Gesundheitszustands in das Studienzentrum.

## Zu welchem wesentlichen Ergebnis kam die Studie?

Wie viele Teilnehmende zeigten 1 Jahr nach Beginn der Behandlung mit **ETB115** in Kombination mit Dexamethason im Vergleich zu Dexamethason allein weiterhin ein Ansprechen\*?

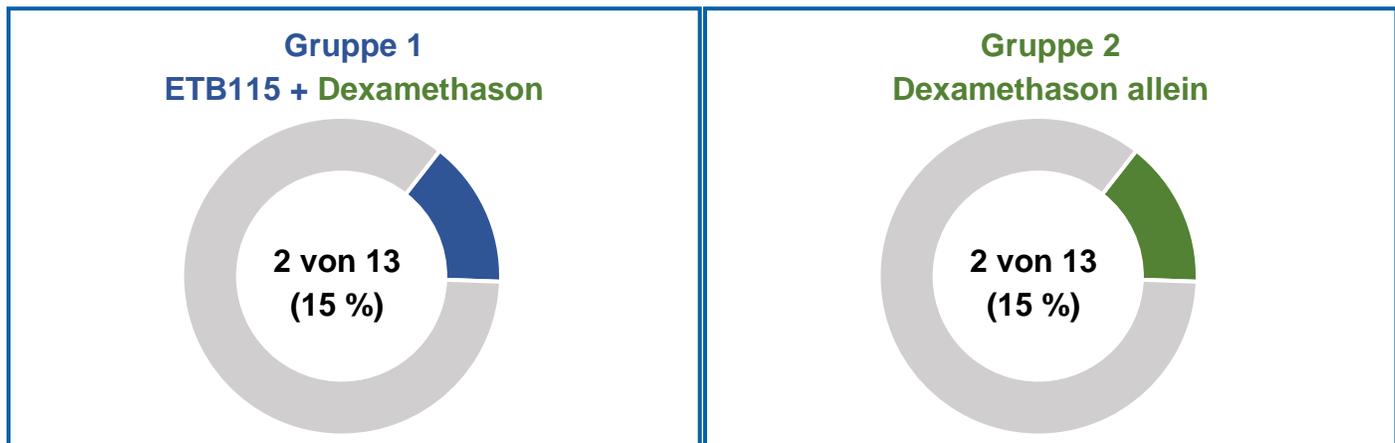


In **Gruppe 1** und **Gruppe 2** zeigte die gleiche Anzahl von Teilnehmenden 1 Jahr nach Beginn der Behandlung in dieser Studie weiterhin ein Ansprechen.

Um dies herauszufinden, wurden die Blutplättchenwerte durch Blutuntersuchungen überwacht und die Blutungsereignisse bei Teilnehmenden während der Studie beurteilt.

\***Ansprechen** auf die Behandlung bedeutet, dass eine bestimmte Blutplättchenzahl nach Absetzen der Behandlung aufrechterhalten bleibt, ohne dass mittelschwere oder schwere Blutungsereignisse auftreten.

Anzahl der Teilnehmenden (prozentualer Anteil), die 1 Jahr nach Behandlungsbeginn ein Ansprechen zeigten



# 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 können 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 Behandlungsbeginn bis 1 Monat nach Abbruch oder Abschluss der Studienteilnahme 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 des Teilnehmenden im Krankenhaus erforderlich macht oder zum Tod führt.

Unerwünschte Ereignisse **können** durch das untersuchte Medikament verursacht worden sein oder auch **nicht**.

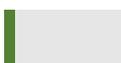
Eine\*r (1) von 26 Teilnehmenden erhielt während dieser Studie keine Behandlung.

Die Zusammenfassung in diesem Abschnitt umfasst somit die Ergebnisse von 25 Teilnehmenden.



Bei fast allen Teilnehmenden (24 von 25) traten unerwünschte Ereignisse auf. Bei 10 Teilnehmenden traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf. Während dieser Studie verstarb 1 Teilnehmende\*r. Zwei (2) Teilnehmende brachen die Studie aufgrund eines unerwünschten Ereignisses ab. Im Rahmen dieser Studie wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf **ETB115** festgestellt.

## Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf?

Teilnehmende, auf die Folgendes zutraf:	Gruppe 1 ETB115 + Dexamethason 12 Teilnehmende	Gruppe 2 Dexamethason allein 13 Teilnehmende
Mindestens 1 schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis	5 von 12 42 % 	5 von 13 39 % 
Mindestens 1 anderes unerwünschtes Ereignis	11 von 12 92 % 	13 von 13 100 % 
Brachen die Studie aufgrund eines unerwünschten Ereignisses ab	2 von 12 17 % 	0
Verstarben während der Studie	0 	1 von 13 8 % 

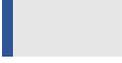
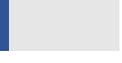
## Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

Die nachstehende Tabelle zeigt die häufigsten schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, die unabhängig von der Behandlungsgruppe bei mindestens 2 Teilnehmenden auftraten.

	Gruppe 1 ETB115 + Dexamethason 12 Teilnehmende	Gruppe 2 Dexamethason allein 13 Teilnehmende
<b>Verschlechterung der Immunthrombozytopenie (ITP)</b>	2 von 12 17 % 	0
<b>Blutgerinnsel in einem Blutgefäß in der Lunge Lungenembolie</b>	0 	2 von 13 15 % 

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

Die nachstehende Tabelle zeigt die weiteren unerwünschten Ereignisse, die bei mindestens 20 % der Teilnehmenden in einer der Gruppen auftraten.

	Gruppe 1 ETB115 + Dexamethason 12 Teilnehmende	Gruppe 2 Dexamethason allein 13 Teilnehmende
<b>Verstopfung</b>	3 von 12 25 % 	0
<b>COVID-19-Infektion</b>	3 von 12 25 % 	4 von 13 31 % 
<b>Durchfall</b>	3 von 12 25 % 	3 von 13 23 % 
<b>Fieber</b> Pyrexie	1 von 12 8 % 	4 von 13 31 % 
<b>Kopfschmerzen</b>	2 von 12 17 % 	4 von 13 31 % 
<b>Schmerzen im Unterleib</b> Abdominalschmerzen	3 von 12 25 % 	0
<b>Hautausschlag</b>	1 von 12 8 % 	3 von 13 23 % 
<b>Müdigkeit</b> Fatigue	2 von 12 17 % 	3 von 13 23 % 

## Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Im Rahmen dieser Studie wurden Erkenntnisse über die Wirkung von **ETB115** in Kombination mit **Dexamethason** im Vergleich zur Wirkung von **Dexamethason** allein bei Teilnehmenden mit **Immunthrombozytopenie**, kurz **ITP**, gewonnen.



Es wurde festgestellt, dass es zwischen der Behandlung mit **ETB115** in Kombination mit **Dexamethason** und der Behandlung mit **Dexamethason** allein keine Unterschiede in Bezug darauf gab, wie viele Teilnehmende 1 Jahr nach Behandlungsbeginn weiterhin ein Ansprechen zeigten. Die Studie wurde jedoch mit weniger Teilnehmenden als ursprünglich geplant abgeschlossen.

Im Rahmen dieser Studie wurden keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf **ETB115** festgestellt. Bei Erstellung dieser Zusammenfassung gab es keine Pläne für zukünftige Studien zu **ETB115** bei Menschen mit **ITP**. Wenn weitere Studien zu **ETB115** bei Teilnehmenden mit **ITP** geplant sind, werden diese auf den unten genannten öffentlichen Internetseiten aufgeführt.

## 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“ [www.novctrd.com](http://www.novctrd.com).

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



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

- [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) - suchen Sie nach der Nummer **NCT04346654**
- [clinicaltrialsregister.eu](http://clinicaltrialsregister.eu) - suchen Sie nach der Nummer **2019-002658-21**

Wenn weitere Studien geplant sind, werden diese auf den oben genannten öffentlichen Internetseiten aufgeführt.

Suchen Sie nach dem Aufrufen der Internetseite nach **ETB115** oder **Eltrombopag**.

**Vollständiger Studientitel:** Eine randomisierte (1:1), unverblindete Phase-II-Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von **Eltrombopag** in Kombination mit **Dexamethason** im Vergleich zu **Dexamethason** als Erstlinientherapie bei erwachsenen Patienten mit neu diagnostizierter Immunthrombozytopenie (XPAG-ITP)



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)