

Zusammenfassung der Studienergebnisse

Eine klinische Studie zur Untersuchung der Wirkung und Sicherheit von CMK389 bei Patient*innen mit chronischer Lungsarkoidose

Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmenden herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu chronischer Lungsarkoidose teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmenden haben dazu beigetragen, dass neue Erkenntnisse über das Studienmedikament **CMK389** gewonnen werden konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist uns wichtig, allen Studienteilnehmenden 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: CCMK389X2201

Novartis-Studienmedikament:
CMK389

Sponsor: Novartis

Wenn Sie an der Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen dieser Studie haben, wenden Sie sich bitte an den*die Studienarzt*in oder die Mitarbeiter*innen am Studienzentrum.

Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich nur auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie. Andere klinische Studien können unterschiedliche Ergebnisse haben

Was war der Hauptzweck dieser Studie?

Im Rahmen dieser Studie sollten neue Erkenntnisse über die Wirkung und das Sicherheitsprofil von **CMK389** bei Menschen mit chronischer Lungensarkoidose gewonnen werden. Zu diesem Zweck wurden die Wirkungen von **CMK389** mit einem Placebo verglichen.



Chronische Lungensarkoidose ist eine seltene, langfristige Lungenkrankheit. Bei Menschen mit chronischer Lungensarkoidose ist die Lunge entzündet. Diese Entzündung kann Husten, Kurzatmigkeit und keuchendes Atmen verursachen.

An einer **Entzündung** sind viele Zellen und Proteine im Immunsystem beteiligt, die schädliche Substanzen entfernen und den Körper schützen. Zu starke Entzündungen sind allerdings schädlich für den Körper.



CMK389 ist ein Studienmedikament, das entwickelt wurde, um ein Protein des Immunsystems zu blockieren, das möglicherweise bei chronischer Lungensarkoidose eine Rolle spielt.



Ein **Placebo** sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos lässt sich die Wirkung eines Studienmedikaments besser verstehen.



Im Rahmen dieser Studie sollten die folgenden wesentlichen Fragen beantwortet werden:

- Konnten die Teilnehmenden nach einer etwa viermonatigen Behandlung mit CMK389 leichter atmen?
- Welche medizinischen Probleme, auch unerwünschte Ereignisse genannt, traten während der Studie auf?
 - ↳ Ein **unerwünschtes Ereignis** ist ein ungewolltes Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt. Unerwünschte Ereignisse **können** durch das Studienmedikament verursacht sein **oder auch nicht**.

Wie lange dauerte diese Studie?



Die Studie begann im September 2020 und endete im Dezember 2023.

Wer nahm an dieser Studie teil?



In dieser Studie wurden insgesamt 62 Teilnehmende mit chronischer Lungsarkoidose behandelt – 42 Männer und 20 Frauen. Die Teilnehmenden waren zwischen 31 und 67 Jahre alt. Das Durchschnittsalter lag bei 51 Jahren.

Die Anzahl der Teilnehmenden nach ethnischer Zugehörigkeit ist nachstehend aufgeführt.

Ethnische Zugehörigkeit

5

Schwarze oder
Afroamerikaner*innen

56

Weißer

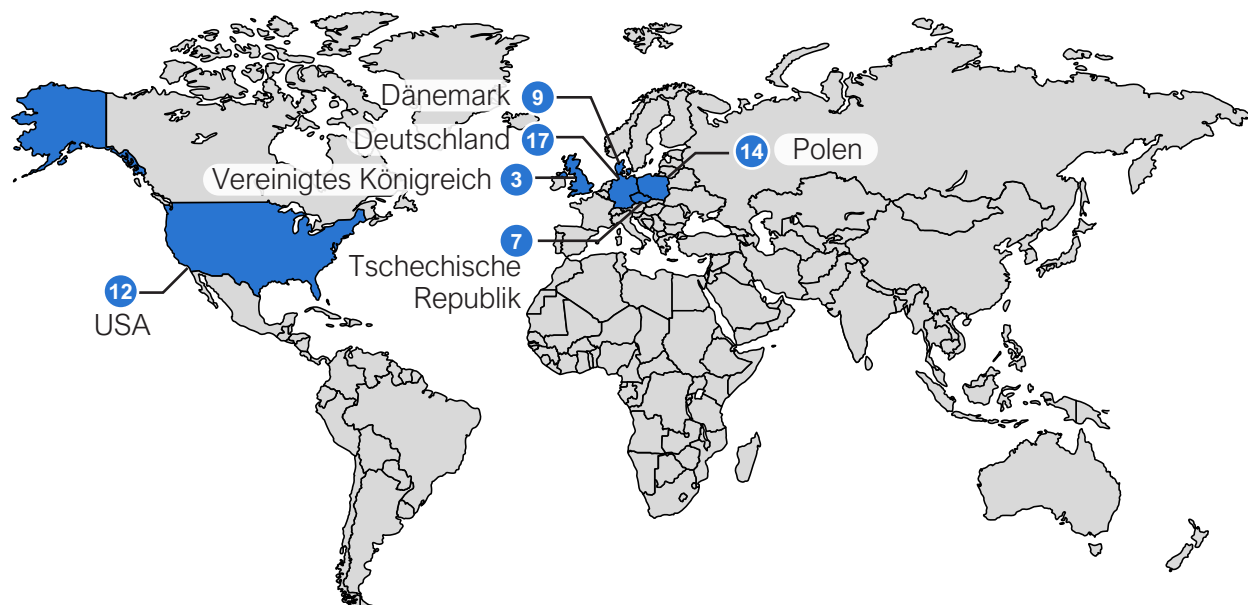
1

Unbekannt

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

- Lungsarkoidose seit mehr als 1 Jahr
- Erhalt üblicher Behandlungen für chronische Lungsarkoidose für mindestens 6 Monate. Dazu gehören Steroide und Medikamente, die die Aktivität des Immunsystems verringern, nämlich Methotrexat oder Azathioprin.
- Sie waren Nichtraucher.
- Sie litten nicht unter bestimmten Erkrankungen, die das Immunsystem schwächen könnten.

In der Studie erhielten 62 Teilnehmende aus 6 Ländern eine Behandlung. Die folgende Landkarte zeigt, wie viele Personen im jeweiligen Land teilnahmen.



Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmenden?

In dieser Studie wurden folgende Behandlungen angewendet:



CMK389 als intravenöse (i. v.) Infusion (mit einer Nadel in eine Vene) alle 4 Wochen. Die Teilnehmenden erhielten 10 Milligramm **CMK389** pro Kilogramm Körpergewicht. Die Infusion dauerte etwa 1 Stunde.



Placebo als intravenöse Infusion alle 4 Wochen. Die Infusion dauerte etwa 1 Stunde.

Begleitend zu der obigen Behandlung konnten die Teilnehmenden einige ihrer üblichen Medikamente gegen chronische Lungsarkoidose weiter anwenden, einschließlich Steroide und Hydroxychloroquin. Die Teilnehmenden setzten die Einnahme von Methotrexat und Azathioprin ab, als sie in die Studie eintraten.

Mithilfe eines Computerprogramms wurde den Teilnehmenden nach dem Zufallsprinzip eine Behandlung zugewiesen.

Weder die Teilnehmenden noch das Forschungs- und das Studienpersonal wussten, welche Behandlung die Teilnehmenden erhielten. Einige Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da das Wissen darüber, welche*r Teilnehmende welches Medikament erhält, die Studienergebnisse beeinflussen kann. Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Was geschah während der Studie?

Vor der Behandlung

Etwa 2 Monate



Die Patient*innen wurden genau untersucht, um sicherzustellen, dass sie an der Studie teilnehmen konnten.

Die Teilnehmenden setzten bestimmte Medikamente für chronische Lungensarkoidose ab. Die Studienärzt*innen senkten auch die Steroid-Dosis der Teilnehmenden.

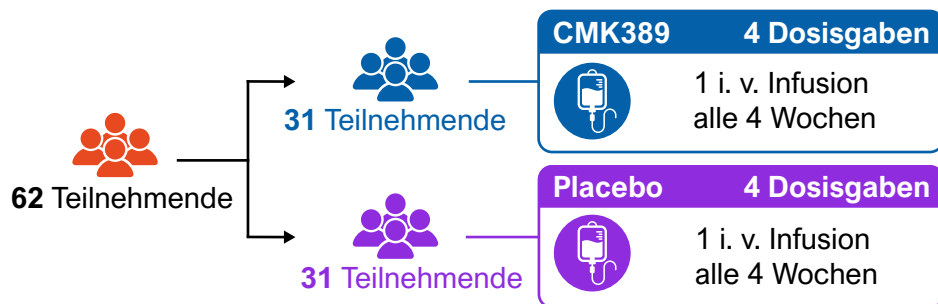
Während der Behandlung

Etwa 4 Monate



Die nachstehende Grafik zeigt, wie viele Teilnehmende den Behandlungen jeweils zugewiesen waren.

62 Teilnehmende erhielten bis zu 4 Dosen ihrer jeweiligen Behandlung:



Die Studienärzt*innen passten die Dosis der Steroide bei jeder*jedem Teilnehmenden während der gesamten Studie weiter an.

Nach der Behandlung

Bis zu etwa 5 Monate



Nach ihrer letzten Dosis kamen die Teilnehmenden noch bis zu 3-mal ins Studienzentrum, um ihren Gesundheitszustand untersuchen zu lassen.



Für bis zu etwa 5 Monate wurde auch einmal monatlich ein Schwangerschaftstest durchgeführt.

Während der gesamten Studie wurde der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmenden regelmäßig überprüft.

Was waren die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie?

Konnten die Teilnehmenden nach einer etwa viermonatigen Behandlung mit CMK389 leichter atmen?



Bei den Teilnehmenden, die **CMK389** erhielten, gab es im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, keine nennenswerte Veränderung im Hinblick darauf, wie leicht sie atmen konnten.

Um dies herauszufinden, wurde die forcierte Vitalkapazität (FVC) der Teilnehmenden gemessen. Die **FVC** gibt an, wie viele Milliliter (ml) Luft ausgeatmet werden können. Für jeden Teilnehmenden wurde **die FVC in Prozent** vom Sollwert berechnet.

Die FVC wurde vor der Behandlung und nach etwa 4 Monaten Behandlung gemessen. Dann wurde die durchschnittliche Veränderung der FVC in Prozent vom Sollwert bei Teilnehmenden, die **CMK389** erhielten, mit der Veränderung bei den Teilnehmenden in der Placebogruppe verglichen.

Was ist die FVC in Prozent vom Sollwert?

Bei der FVC in Prozent vom Sollwert wird der FVC-Wert der Teilnehmenden mit dem FVC-Wert verglichen, der bei Personen zu erwarten wäre, die keine Lungenkrankheit haben. Ein **höherer Wert** für die FVC in Prozent vom Sollwert bedeutet, dass **die betreffende Person leichter atmen kann**.

Veränderung der FVC in Prozent vom Sollwert

Die Ergebnisse unten zeigen die durchschnittliche Veränderung der FVC in Prozent vom Sollwert bei den Teilnehmenden nach etwa 4 Monaten Behandlung.

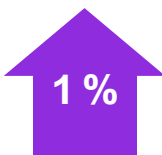
CMK389 26 Teilnehmende

Der FVC-Wert in Prozent vom Sollwert der Teilnehmenden war **0,5 % niedriger**



Placebo 27 Teilnehmende

Der FVC-Wert in Prozent vom Sollwert der Teilnehmenden war **1 % höher**



In diese Grafik wurden nur Teilnehmende aufgenommen, die ihre Behandlung planmäßig erhielten.

Was waren weitere Ergebnisse dieser Studie?

Beeinflusste CMK389, wie viele Teilnehmende mehr Steroide erhielten?



Etwa dieselbe Anzahl von Teilnehmenden in der Gruppe mit **CMK389** und in der Placebogruppe benötigte mehr Steroide.

Die Studienärzt*innen entschieden, ob ein*e Teilnehmende*r mehr Steroide benötigte, um die Symptome der chronischen Lungensarkoidose zu lindern.

Um diese Frage zu beantworten, wurde dokumentiert und nachverfolgt, wie viele Teilnehmende mehr Steroide erhielten. Es wurde vor der Behandlung und nach etwa 4 Monaten Behandlung erfasst, wie oft und in welcher Dosis die Teilnehmenden Steroide einnahmen.

Beeinflusste CMK389 andere Messwerte für chronische Lungensarkoidose?



CMK389 beeinflusste alle anderen Messwerte für chronische Lungensarkoidose nicht mehr als Placebo. **CMK389** hatte Auswirkungen auf die Entzündung im Bereich der Lunge, es konnte jedoch nicht festgestellt werden, ob dieser Effekt bedeutsam war.

Um diese Frage zu beantworten, wurden folgende Messwerte ermittelt:

- **Entzündung in und um die Lunge der Teilnehmenden** mithilfe bildgebender Untersuchungen
- **Einsekundenkapazität (FEV1)**, ein weiterer Messwert dafür, wie leicht die Teilnehmenden atmen konnten
- **Diffusionskapazität der Lunge (DLCO)**, mit der gemessen wird, wie gut die Lunge arbeitet
- **6-Minuten-Gehtest (6MWT)**, bei dem gemessen wird, wie weit die Teilnehmenden in 6 Minuten gehen können

Die Messwerte von vor der Behandlung wurden mit den Messwerten nach etwa 4 Behandlungsmonaten verglichen.

Beeinflusste CMK389 die Anzahl von Teilnehmenden, deren chronische Lungensarkoidose sich verschlechterte?



Etwa bei derselben Anzahl von Teilnehmenden in der Gruppe mit **CMK389** und in der Placebogruppe hatte sich die chronische Lungensarkoidose nach etwa 4 Monaten verschlechtert.

Um diese Frage zu beantworten, wurden folgende Messwerte ermittelt:

- **FVC**
- **FEV1**
- **DLCO**
- **6MWT**

Es wurde untersucht, bei wie vielen Teilnehmenden in jeder Behandlungsgruppe sich diese Messwerte nach etwa 4 Behandlungsmonaten geändert hatten.

Welche medizinischen Probleme, auch unerwünschte Ereignisse genannt, traten während der Studie auf?

Die Studienärzt*innen dokumentieren alle medizinischen Probleme, auch als **unerwünschte Ereignisse** bezeichnet, die in Studien auftreten. Sie dokumentieren unerwünschte Ereignisse unabhängig davon, ob sie glauben, dass diese durch das untersuchte Medikament hervorgerufen wurden 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 vom Beginn der Studienbehandlung bis etwa 3 Monate nach der letzten Dosisgabe der Behandlung auftraten.

Ein **unerwünschtes Ereignis**:

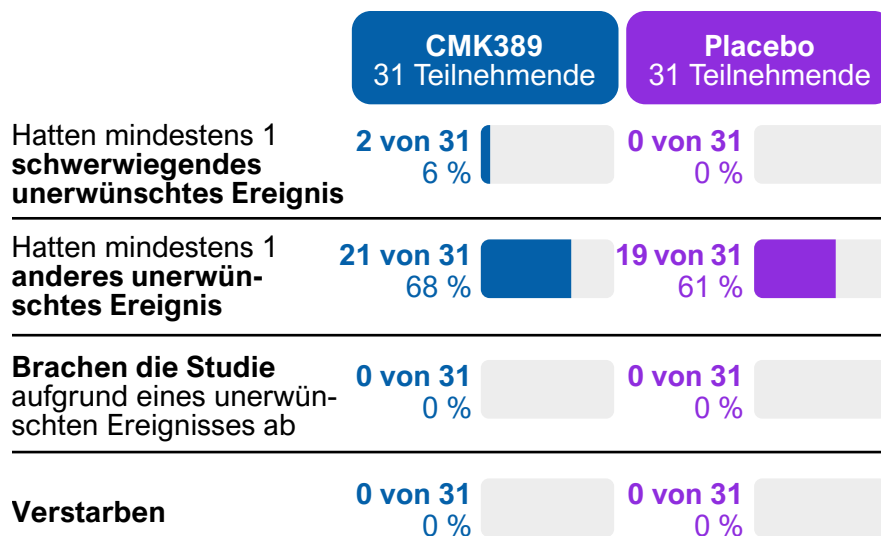
- ist jedes **ungewollte Anzeichen oder Symptom**, das bei Teilnehmenden während einer Studie auftritt.
- gilt als **schwerwiegend**, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht, eine Versorgung des*der Teilnehmenden im Krankenhaus erforderlich macht oder zum Tod führt.

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



Bei mehr als der Hälfte der Teilnehmenden (42 von 62 Teilnehmenden) traten unerwünschte Ereignisse auf. Bei 2 Teilnehmenden traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf. Keine*r der Teilnehmenden verstarb. Keine Teilnehmenden brachen aufgrund eines unerwünschten Ereignisses die Teilnahme an der Studie ab. Im Rahmen dieser Studie ergaben sich keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf **CMK389**.

Bei wie vielen Teilnehmenden traten unerwünschte Ereignisse auf?



Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

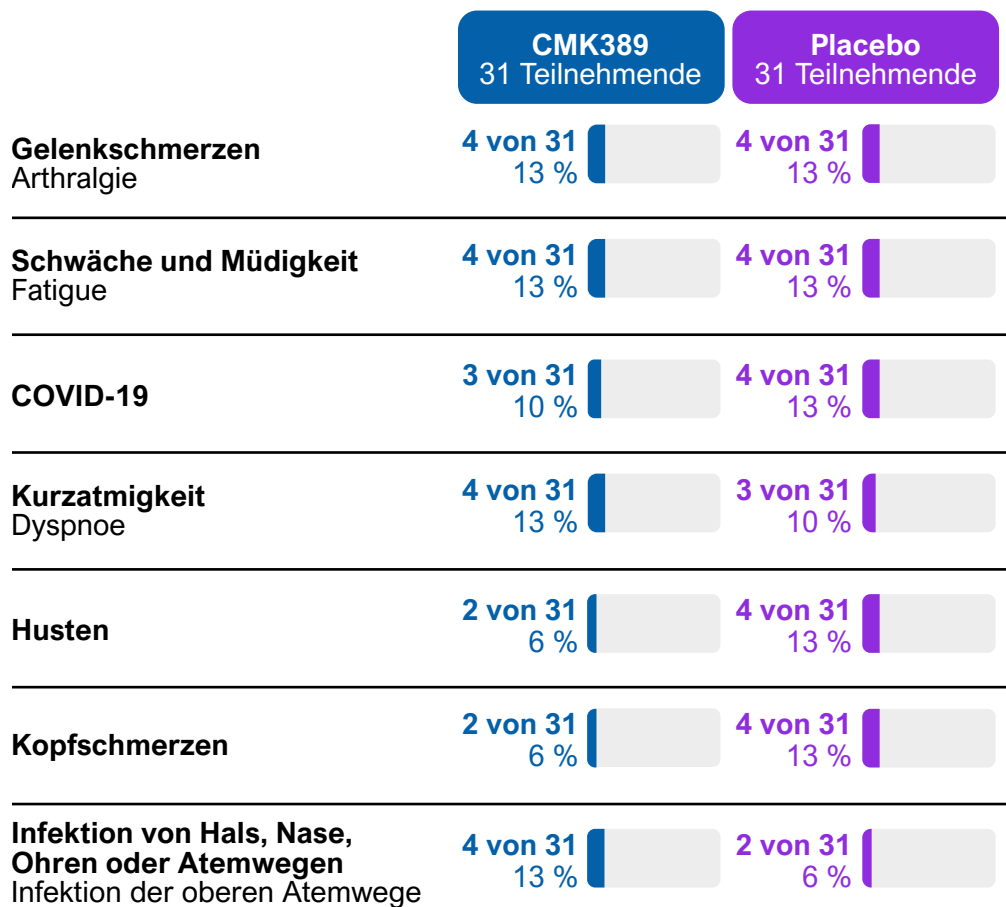
Keine*r der Teilnehmenden verstarb. Bei 2 Teilnehmenden, die **CMK389** erhielten, traten schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf:

- **Kopfverletzung** durch einen Sturz
- **Hautkrebs** (Plattenepithelkarzinom der Haut)

Welche weiteren unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmenden auf?

Bei 40 Teilnehmenden traten weitere unerwünschte Ereignisse auf.

Die nachstehende Tabelle zeigt die weiteren unerwünschten Ereignisse, die **bei mindestens 6** Teilnehmenden auftraten. Andere unerwünschte Ereignisse traten bei weniger Teilnehmenden auf.



Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Es wurden Erkenntnisse über die Wirkungen und die Sicherheit von **CMK389** bei Menschen mit chronischer Lungensarkoidose gewonnen.

Das Studienteam kam zu folgendem Ergebnis:

- Bei den Teilnehmenden, die **CMK389** erhielten, gab es im Vergleich zu Teilnehmenden, die das Placebo erhielten, keine nennenswerte Veränderung im Hinblick darauf, wie leicht sie atmen konnten.
- Im Rahmen dieser Studie ergaben sich keine neuen Sicherheitsbedenken in Bezug auf **CMK389**.



Bei den Teilnehmenden unter Behandlung mit **CMK389** wurde im Vergleich zu denjenigen, die Placebo erhielten, folgendes verzeichnet

- Dieselbe Anzahl von Teilnehmenden benötigte mehr Steroide
- Keine nennenswerten Veränderungen bei anderen Messwerten für chronische Lungensarkoidose
- Bei der selben Anzahl von Teilnehmenden verschlechterte sich deren chronische Lungensarkoidose

Als diese Zusammenfassung erstellt wurde, plante der Auftraggeber keine weiteren Studien zu **CMK389** bei Menschen mit chronischer Lungensarkoidose.

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.

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



Website

www.novctrd.com

aufrufen

Auf **Clinical Trial Results** klicken

Akzeptieren Sie die Nutzungsbedingungen

☒ Ich stimme zu

Nach Studiennummer suchen
CCMK389X2201

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

- clinicaltrials.gov – nach dem Code **NCT04064242** suchen
- clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search – nach dem Code **2018-000381-11** suchen

Weitere Studien zu **CMK389** können auf den oben genannten öffentlichen Internetseiten aufgeführt werden. Suchen Sie nach dem Aufrufen der Internetseite nach „**CMK389**“.

Vollständiger Studientitel: Eine doppelt verblindete, randomisierte, placebokontrollierte, multizentrische Studie mit wiederholter Dosierung zur Untersuchung der Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von CMK389 bei Patient*innen mit chronischer Lungensarkoidose



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 (USA) | +41-61-324 1111 (EU)

www.novartis.com/clinicaltrials