

Zusammenfassung der klinischen Studie

Eine klinische Studie zur Untersuchung der Sicherheit des Studienmedikaments QBW276 bei Patienten mit zystischer Fibrose

Vielen Dank!

Novartis, der Auftraggeber dieser klinischen Studie, möchte allen Studienteilnehmern herzlich danken, die mit ihrer Teilnahme die Durchführung dieser Studie ermöglicht haben.

Überblick über die Studie

Was war der Zweck dieser Studie?



In dieser Studie sollte die Sicherheit des Studienmedikaments QBW276 bei Studienteilnehmern mit zystischer Fibrose (ZF), auch Mukoviszidose genannt, genauer untersucht werden. Es sollte zudem festgestellt werden, wie viel und wie schnell QBW276 ins Blut gelangte.

ZF ist eine genetisch bedingte Erkrankung, die häufig lebensbedrohliche Lungenschädigungen und andere schwerwiegende Probleme verursacht.

Wer nahm an dieser klinischen Studie teil?



An dieser klinischen Studie nahmen 16 erwachsene Männer und Frauen mit ZF teil.

Welche Behandlung wurde in dieser Studie angewandt?



In dieser Studie atmeten die Teilnehmer mithilfe eines Pulverinhalators 2 unterschiedliche Dosierungen von QBW276 oder ein Placebo ein. Ein Placebo sieht genauso aus wie das Studienmedikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff.

Durch die Studie sollten folgende Fragestellungen geklärt werden:

- Welche medizinischen Probleme traten im Rahmen der Studie auf?
- Wie viel und wie schnell gelangte QBW276 ins Blut der Teilnehmer?
- Erleichterte QBW276 den Teilnehmern die Atmung?

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die klinische Studie?



Bei 8 der 16 Teilnehmer trat im Rahmen der Studie mindestens 1 medizinisches Problem auf. Keines davon wurde als schwerwiegend eingestuft und keiner der Teilnehmer beendete die Studie vorzeitig aufgrund eines medizinischen Problems. Die Untersuchungen ergaben, dass QBW276 schnell ins Blut gelangte und dort eine geringe Wirkstoffmenge erreichte.

Inhaltsverzeichnis

| | |
|---|----|
| Warum war diese Studie notwendig? | 2 |
| Welche Erkenntnisse wurden durch diese klinische Studie gewonnen? | 5 |
| Inwiefern war diese klinische Studie hilfreich? | 9 |
| Wo finde ich weitere Informationen zu dieser und zu zukünftigen klinischen Studien? . | 10 |



Es bedarf vieler klinischer Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung sicher und wirksam ist. Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Gesamtergebnisse dieser klinischen Studie, nicht auf die persönlichen Ergebnisse einzelner Teilnehmer. Die persönlichen Ergebnisse können sich von den Gesamtergebnissen unterscheiden und sind nicht in dieser Zusammenfassung aufgeführt.

Sprechen Sie stets mit einem Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer Therapie vornehmen.

Warum war diese Studie notwendig?

Wissenschaftler suchen nach einer besseren Behandlungsmöglichkeit für Atembeschwerden bei zystischer Fibrose. Bei der genetischen Erkrankung ZF bildet der Körper dickflüssigen, klebrigen Schleim, der sich in der Lunge, im Verdauungssystem und in anderen Bereichen des Körpers ablagert. Diese Schleimablagerungen können lebensbedrohliche Lungenschädigungen und andere schwerwiegende Probleme verursachen. ZF kann derzeit nicht geheilt werden.

Diese Studie wurde durchgeführt, um die Sicherheit des Studienmedikaments QBW276 bei Patienten mit ZF zu untersuchen. Das Studienmedikament QBW276 könnte Menschen mit ZF die Atmung erleichtern, da es Schleim dünnflüssiger macht und dadurch Schleimablagerungen in der Lunge verhindern könnte. QBW276 wird durch einen Pulverinhalator eingeatmet.

Durch die Studie sollten folgende Fragestellungen geklärt werden:

- Welche medizinischen Probleme traten im Rahmen der Studie auf?
- Wie viel und wie schnell gelangte QBW276 ins Blut der Teilnehmer?
- Erleichterte QBW276 den Teilnehmern die Atmung?

Wer nahm an dieser klinischen Studie teil?

An dieser klinischen Studie nahmen 16 Männer und Frauen mit ZF teil. Sie waren zwischen 22 und 49 Jahre alt. Der Altersdurchschnitt lag bei 34 Jahren.

Alle Teilnehmer dieser klinischen Studie litten an ZF, waren laut ärztlicher Untersuchung aber ansonsten gesund. Patienten, bei denen bereits eine Lungentransplantation durchgeführt worden war, konnten nicht an dieser klinischen Studie teilnehmen.

Diese klinische Studie wurde in den USA und Deutschland durchgeführt.

Die klinische Studie begann im September 2017 und endete vorzeitig im April 2018, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QBW276 bei Patienten mit ZF einzustellen. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit von QBW276.

Die Teilnehmer, die bereits in diese klinische Studie aufgenommen worden waren, durften die Studie abschließen. Sie begannen zu unterschiedlichen Zeitpunkten mit der Studienteilnahme. Alle Teilnehmer schlossen die Studie ab.



Weitere Informationen zu den Teilnahmevoraussetzungen an dieser klinischen Studie finden Sie unter [novctrd.com](https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/CQBW276X2201). Verwenden Sie den Studiencode CQBW276X2201, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Um welche Art von Studie handelte es sich?

Bei dieser klinischen Studie handelte es sich um eine Phase-II-Studie. In dieser Phase wird die Sicherheit und Wirksamkeit eines Studienmedikaments bei einer kleinen Anzahl von Teilnehmern untersucht.

Mithilfe eines Computerprogramms wurde den Teilnehmern nach dem Zufallsprinzip eine Behandlung zugewiesen: QBW276 oder Placebo. Ein **Placebo** sieht genauso aus wie das Studienmedikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos können Wissenschaftler die tatsächliche Wirkung eines Studienmedikaments besser verstehen.

Weder die Teilnehmer noch das Studienpersonal oder die Mitarbeiter des Auftraggebers der Studie wussten, welche Teilnehmer das Studienmedikament und welche Placebo erhalten hatten. Einige klinische Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da die Ergebnisse der Studie beeinträchtigt werden können, wenn bekannt ist, welches Studienmedikament die Teilnehmer erhalten. Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Was geschah während der Studie?

Vor der Behandlung

Die Studienärzte überprüften den Gesundheitszustand aller Teilnehmer, um sicherzustellen, dass diese an der klinischen Studie teilnehmen konnten. Sie maßen zudem, wie leicht die Teilnehmer atmen konnten, und entnahmen Blutproben.

Während der Behandlung

Das Studienteam teilte die Teilnehmer in Gruppe 1 und Gruppe 2 ein. In Gruppe 1 wurde über einen Zeitraum von 7 Tagen zunächst eine niedrigere Dosis von QBW276 untersucht. Nach der letzten Behandlung wurde untersucht, ob bei den Teilnehmern aus Gruppe 1 medizinische Probleme aufgetreten waren. Nachdem sich die Studienärzte vergewissert hatten, dass keine schwerwiegenden Probleme aufgetreten waren, wurde über einen Zeitraum von 14 Tagen eine höhere Dosis von QBW276 in Gruppe 2 untersucht.

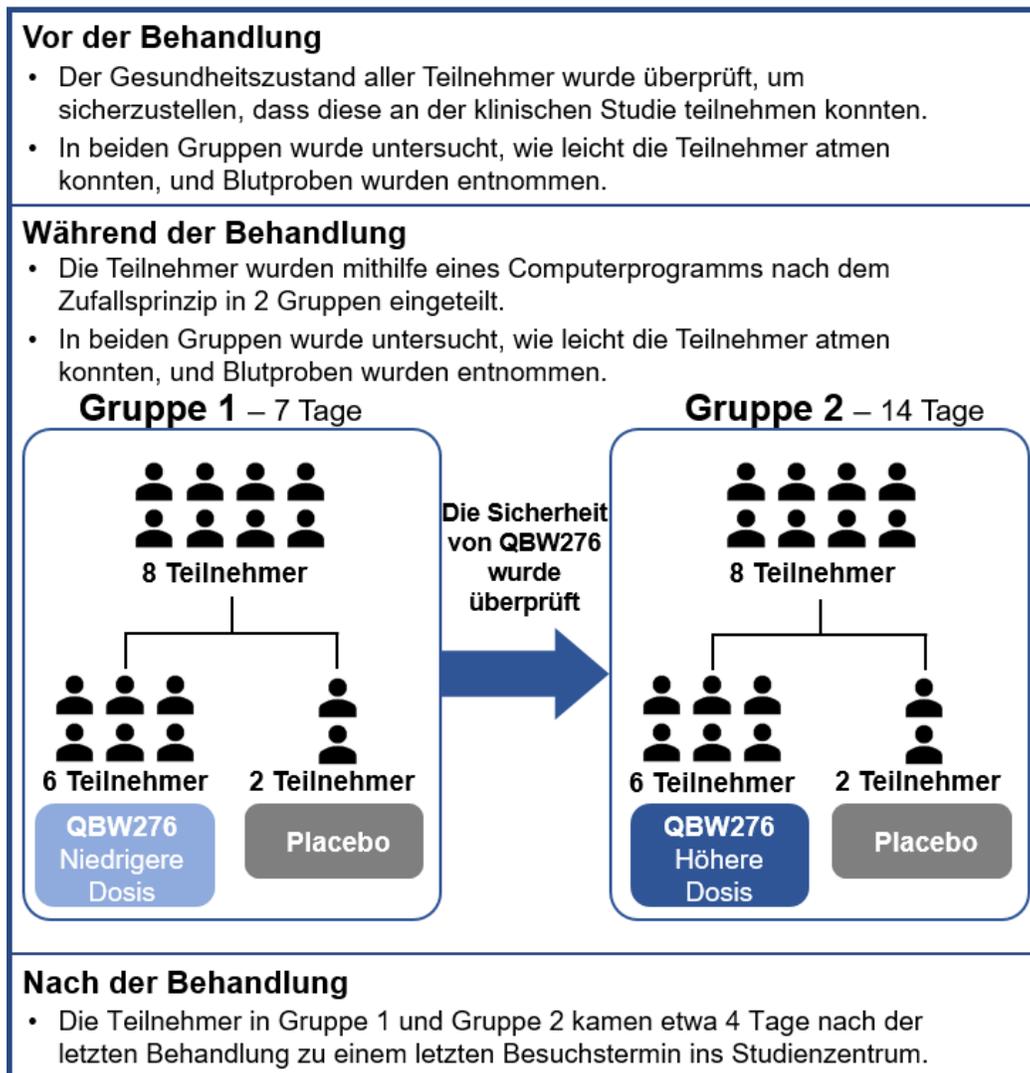
Nach der ersten Dosis der zugewiesenen Behandlung entnahmen die Studienärzte Blutproben. Die Teilnehmer besuchten das Studienzentrum während der Behandlung bis zu 3 Mal.

Nach der Behandlung

Die Teilnehmer in Gruppe 1 und Gruppe 2 kamen etwa 4 Tage nach der letzten Behandlung zu einem letzten Besuchstermin ins Studienzentrum.

Ursprünglich war eine 3. Behandlungsgruppe für diese Studie vorgesehen, der Auftraggeber der Studie beschloss jedoch, sämtliche Untersuchungen zu QBW276 bei Patienten mit ZF einzustellen.

Aufbau der Studie:



Welche Erkenntnisse wurden durch diese klinische Studie gewonnen?

Welche medizinischen Probleme traten im Rahmen der Studie auf?

Medizinische Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet. Ein **unerwünschtes Ereignis** ist ein ungewolltes Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmern während einer Studie auftritt. Als „schwerwiegend“ bezeichnet man unerwünschte Ereignisse, wenn sie lebensbedrohlich sind, anhaltende Probleme verursachen oder eine Versorgung des Teilnehmers im Krankenhaus erforderlich machen.



Unerwünschte Ereignisse können durch das Studienmedikament verursacht sein oder auch nicht. Es bedarf vieler Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung ein unerwünschtes Ereignis verursacht. Während einer Studie werden alle unerwünschten Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt, unabhängig davon, ob diese durch das Studienmedikament hervorgerufen worden sein könnten oder nicht.



Das Studienteam stellte fest, dass bei 8 der 16 Studienteilnehmer (50 %) mindestens 1 unerwünschtes Ereignis aufgetreten war. Keines der unerwünschten Ereignisse wurde als schwerwiegend eingestuft.

An allen beteiligten Studienzentren wurden unerwünschte Ereignisse dokumentiert und nachverfolgt. Wenn Blutproben entnommen wurden oder die Teilnehmer zu Besuchsterminen ins Studienzentrum kamen, wurde geprüft, ob unerwünschte Ereignisse aufgetreten waren. Auch die Teilnehmer selbst meldeten unerwünschte Ereignisse. Das Studienteam verglich die Anzahl der Teilnehmer, bei denen unerwünschte Ereignisse aufgetreten waren während sie QBW276 erhalten hatten, mit der Anzahl jener Teilnehmer, die Placebo erhalten hatten.

Kein Teilnehmer beendete die Teilnahme an dieser klinischen Studie vorzeitig oder brach die Behandlung aufgrund eines unerwünschten Ereignisses ab.

Teilnehmer, bei denen im Rahmen dieser klinischen Studie unerwünschte Ereignisse auftraten

| | QBW276 Niedrigere Dosis (von 6 Teilnehmern) | QBW276 Höhere Dosis (von 6 Teilnehmern) | Placebo Gruppe 1 und 2 (von 4 Teilnehmern) |
|--|---|---|--|
| Teilnehmer mit mindestens 1 unerwünschten Ereignis | 33 % (2) | 100 % (6) | 0 % (0) |
| Teilnehmer mit schwerwiegenden unerwünschten Ereignissen | 0 % (0) | 0 % (0) | 0 % (0) |
| Teilnehmer, die diese Studie aufgrund unerwünschter Ereignisse vorzeitig beendeten | 0 % (0) | 0 % (0) | 0 % (0) |

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten im Rahmen dieser Studie auf?



Ein unerwünschtes Ereignis wird als schwerwiegend bezeichnet, wenn es lebensbedrohlich ist, einen Krankenhausaufenthalt erforderlich macht oder eine Behinderung bzw. dauerhafte Gesundheitsschädigung oder einen Geburtsfehler verursachen kann.

Im Rahmen dieser klinischen Studie berichtete keiner der Teilnehmer über schwerwiegende unerwünschte Ereignisse und kein Teilnehmer verstarb.

Über welche Arten von unerwünschten Ereignissen berichteten die Teilnehmer?

Einige Teilnehmer berichteten über medizinische Probleme oder unerwünschte Ereignisse, die nicht schwerwiegend waren. In diesem Abschnitt sind die häufigsten unerwünschten Ereignisse aufgeführt, die bei den Teilnehmern während dieser klinischen Studie auftraten.

Diese Zusammenfassung führt nur folgende Arten von unerwünschten Ereignissen auf:

- von mindestens 3 Studienteilnehmern in dieser Studie berichtet
- zwischen Behandlungsbeginn und Ende der klinischen Studie gemeldet

Berichtete unerwünschte Ereignisse (nach Art geordnet)

| | QBW276 Niedrigere Dosis von 6 Teilnehmern | QBW276 Höhere Dosis von 6 Teilnehmern | Placebo Gruppe 1 und 2 von 4 Teilnehmern |
|-------------------------------------|--|--|---|
| Husten | 0 |  4 (67 %) | 0 |
| Kopfschmerzen | 0 |  3 (50 %) | 0 |
| Atembeschwerden (Dyspnoe) |  1 (17 %) |  2 (33 %) | 0 |



Weitere Informationen über die unerwünschten Ereignisse, die von Teilnehmern im Rahmen dieser klinischen Studie berichtet wurden, finden Sie unter [novctrd.com](https://www.novctrd.com). Verwenden Sie den Studiencode CQBW276X2201, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Wie viel QBW276 gelangte ins Blut der Teilnehmer?



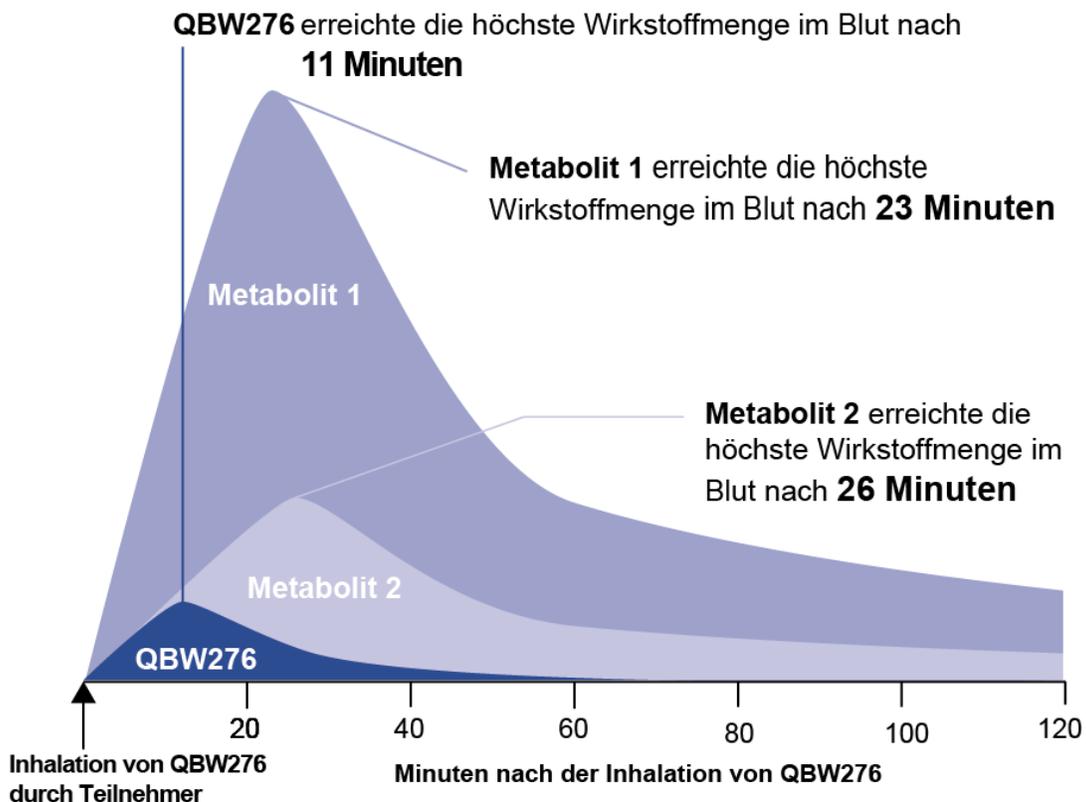
Das Studienteam stellte fest, dass QBW276 schnell ins Blut gelangte und die erwartete Wirkstoffmenge erreichte.

Um festzustellen, welche Menge QBW276 in das Blut der Teilnehmer gelangt war, wurden Blutproben entnommen, um die Wirkstoffmenge von QBW276 und dessen 2 Metaboliten zu messen. Metaboliten sind Stoffe, die beim Abbau von QBW276 durch den Körper entstehen. Anhand dieser Messwerte lässt sich entscheiden, in welcher Menge und in welcher Häufigkeit das Studienmedikament inhaliert werden muss.

Die Untersuchungen zeigten, dass:

- niedrige Wirkstoffmengen von QBW276 im Blut der Teilnehmer erreicht wurden,
- QBW276 nach der Inhalation schnell ins Blut der Teilnehmer gelangte,
- QBW276 und dessen Metaboliten vom menschlichen Körper schnell aus dem Blut entfernt werden konnten.

Wirkstoffmenge von QBW276 und dessen Metaboliten im Blut der Teilnehmer im Untersuchungszeitraum



Welche weiteren wichtigen Erkenntnisse konnten gewonnen werden?



Das Studienteam stellte fest, dass QBW276 im Vergleich zu Placebo keinen nennenswerten Einfluss auf die Atmung der Teilnehmer hatte.

Um festzustellen, ob QBW276 den Teilnehmern die Atmung erleichterte, wurden 2 Messgrößen verwendet:

- **Einsekundenkapazität (Forced Expiratory Volume during 1 second, FEV₁):** Wie viele Liter Luft eine Person innerhalb von 1 Sekunde mit voller Kraft ausatmen kann. Je höher der FEV₁-Wert ist, desto leichter kann eine Person atmen.
- **Lung Clearance Index (LCI):** Wie gleichmäßig die Luft in die Lunge hinein- und wieder herausströmt. Je niedriger der LCI-Wert, desto gleichmäßiger arbeitet die Lunge eines Menschen.

Aufgrund der geringen Teilnehmerzahl an dieser klinischen Studie konnte nicht festgestellt werden, ob ein nennenswerter Unterschied zwischen den FEV₁- und LCI-Werten der Teilnehmer vor und nach der Behandlung bestand.

Inwiefern war diese klinische Studie hilfreich?

Die Ergebnisse dieser klinischen Studie halfen Wissenschaftlern dabei, mehr über die Sicherheit und Wirksamkeit von QBW276 zu erfahren. Aufgrund der Studienergebnisse lässt sich besser einschätzen, in welcher Menge und in welcher Häufigkeit ein Patient QBW276 inhalieren müsste, um eine Wirkung zu erzielen.



Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen klinischen Studie. Eine einzelne klinische Studie kann kein vollständiges Bild über Nutzen und Risiken eines Studienmedikaments vermitteln. Es müssen die Ergebnisse vieler Studien analysiert werden, um herauszufinden, welche Behandlungen bei Patienten mit zystischer Fibrose angewandt werden können. Die vorliegende Zusammenfassung zeigt lediglich die wichtigsten Ergebnisse dieser Studie. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen.

Wo finde ich weitere Informationen zu dieser und zu zukünftigen klinischen Studien?

Wenn Sie an dieser klinischen 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 auf die Ergebnisse einer einzelnen klinischen Studie.

Detaillierte Ergebnisse und nähere Informationen zu dieser klinischen Studie finden Sie auf der englischsprachigen Website „Novartis Clinical Trial Results Database“:

1. Besuchen Sie die Website novctrd.com.
2. Klicken Sie oben rechts auf der Seite auf „Clinical trial results and trial summary for patients“ [Studienergebnisse und Zusammenfassungen für Patienten].
3. Lesen Sie sich den Text auf der Seite durch, indem Sie nach unten scrollen. Klicken Sie anschließend auf „I accept“ [Akzeptieren], um der Nutzung der Informationen und der Website zuzustimmen.
4. Wählen Sie unten links auf der Seite „Search by study number“ [Nach Studiencode suchen] aus.
5. Geben Sie „**CQBW276X2201**“ in das Suchfeld ein und klicken Sie auf „Search“ [Suchen].

Diese klinische Studie wurde auf den folgenden Websites registriert:

- ClinicalTrials.gov – <https://clinicaltrials.gov/>
Geben Sie **CQBW276X2201** in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein, um nach dieser Studie zu suchen.
- EU Clinical Trials Register – <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search>
Geben Sie **CQBW276X2201** in das Suchfeld ein, um nach dieser Studie zu suchen.

Vollständiger Studientitel:

Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Studie zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von mehreren Dosen des Inhalats QBW276 bei Patienten mit zystischer Fibrose

Vielen Dank!

Novartis möchte sich bei allen Teilnehmern bedanken, die die Durchführung dieser klinischen Studie ermöglicht haben. Durch den Einsatz der Studienteilnehmer konnten wichtige medizinische Fragestellungen beantwortet und eine mögliche medizinische Behandlung erprobt werden. Es bedarf vieler freiwilliger Teilnehmer und vieler klinischer Studien, um Fortschritte in der medizinischen Forschung zu erzielen.

Health Literacy Media



911 Washington Ave., Suite 625,
St. Louis, Missouri, 63101, USA
E-Mail: info@healthliteracy.media

+1-314-361-9400

www.healthliteracy.media



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