

Eine klinische Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit des Studienmedikaments QCC374 bei Bluthochdruck in der Lunge



Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie zu dem Medikament **QCC374** teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass Wissenschaftler neue Erkenntnisse über die Wirkung und Sicherheit von QCC374 gewinnen konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist uns ein Anliegen, Studienteilnehmern und interessierten Patienten Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen. Eine unabhängige Organisation hat die vorliegende Zusammenfassung der Studienergebnisse erstellt.

Wir hoffen, dass die vorliegende Zusammenfassung den Teilnehmern darlegen kann, dass sie einen wichtigen Beitrag für die medizinische Forschung leisten.



Falls Sie an der Studie teilgenommen und **Fragen** zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an die Studienärzte oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Informationen zur Studie

Studiencode: CQCC374X2201
Studienmedikament: QCC374
Auftraggeber: Novartis

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf den englischsprachigen Websites, die auf den **Seiten 10 und 11** dieser Zusammenfassung aufgeführt sind.

Überblick über die Studie

Was war der Zweck dieser Studie?

Mehr dazu auf [Seite 3](#)



In dieser klinischen Studie wurde die Sicherheit des Studienmedikaments QCC374 bei Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH) untersucht. Außerdem sollte die Auswirkung von QCC374 auf den Bluthochdruck in der Lunge von Patienten mit PAH untersucht werden.

In dieser Studie sollten folgende Fragestellungen untersucht werden:

- Konnte der Blutdruck in den Lungenarterien durch QCC374 gesenkt werden?
- Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?
Die Nachverfolgung der gesundheitlichen Probleme ermöglichte es, mehr über die Sicherheit von QCC374 zu erfahren.

Wer nahm an dieser Studie teil?

Mehr dazu auf [Seite 4](#)



- An dieser klinischen Studie nahmen 8 Männer und Frauen teil.
- Alle Teilnehmer litten an PAH.

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?

Mehr dazu auf [Seite 4](#)

Die Teilnehmer wurden einer der beiden folgenden Behandlungen mit einem Pulverinhalator zugewiesen:

- QCC374
- Placebo – sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam diese Studie? [Mehr dazu auf Seite 6](#)



- Es haben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben.
- Die Studie wurde vorzeitig beendet, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QCC374 bei Patienten mit PAH einzustellen. Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit von QCC374.
- Da die Studie vorzeitig beendet wurde, wurden zu wenige Studienteilnehmer untersucht, um feststellen zu können, ob QCC374 den Blutdruck in der Lunge senken konnte.

Was war der Zweck dieser Studie?

Wissenschaftler sind auf der Suche nach einer besseren Möglichkeit zur Behandlung von Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie (PAH). **PAH** ist eine seltene Erkrankung, die zu Bluthochdruck in der Lunge führt. Bei Patienten mit PAH kommt es durch eine Verengung kleiner Blutgefäße, sogenannter Arterien, zu Bluthochdruck. Je höher der Blutdruck wird, desto mehr muss das Herz arbeiten, um Blut in die Lunge zu pumpen.

Zu den Symptomen der PAH gehören:

- Müdigkeit
- Atembeschwerden
- Schwindel
- Benommenheit oder kurzzeitige Bewusstlosigkeit

Die PAH-Symptome verschlimmern sich häufig im Verlauf der Zeit und können lebensbedrohlich werden. PAH kann nicht geheilt werden. Es gibt jedoch Medikamente, mit denen die Symptome behandelt werden können.

Das Studienmedikament **QCC374** wird direkt in die Lunge eingeatmet, damit die Arterien geöffnet und der Blutdruck gesenkt werden kann. Dadurch kann die Belastung für das Herz verringert werden. Bevor ein Medikament für die Behandlung von Patienten zugelassen werden kann, werden viele klinische Studien durchgeführt, um mehr über die Sicherheit und Wirkungsweise zu erfahren.

In dieser klinischen Studie sollten folgende Fragestellungen untersucht werden:

- Konnte der Blutdruck in den Lungenarterien durch QCC374 gesenkt werden?
- Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

Wer nahm an dieser Studie teil?

8 Teilnehmer begannen diese klinische Studie, darunter 7 Frauen und 1 Mann. Alle Teilnehmer waren zwischen 20 und 65 Jahre alt. Der Altersdurchschnitt lag bei 45 Jahren.

Alle Teilnehmer dieser klinischen Studie litten an PAH.

Die klinische Studie wurde in Deutschland, Südkorea, im Vereinigten Königreich und in den USA durchgeführt.



Weitere Informationen zu den Ein- und Ausschlusskriterien für diese klinische Studie sowie zu den Teilnehmern dieser Studie finden Sie unter [novctrd.com](https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/CQCC374X2201). Verwenden Sie den Studiencode **CQCC374X2201**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Welche Behandlungen erhielten die Teilnehmer?



Mithilfe eines Computerprogramms wurde den Teilnehmern nach dem Zufallsprinzip eine der folgenden Behandlungen zugewiesen:

- QCC374
- Placebo

Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Die Teilnehmer wendeten 2-mal täglich einen Pulverinhalator an, mit dem sie entweder QCC374 oder Placebo einatmeten. Ein **Placebo** sieht genauso aus wie das untersuchte Medikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos können Wissenschaftler die tatsächliche Wirkung eines untersuchten Medikaments besser verstehen.

Die Teilnehmer, die der Behandlung mit QCC374 zugewiesen wurden, begannen mit einer niedrigen Dosis. Über einen Zeitraum von 2 Wochen konnten die Studienärzte die Dosis auf eine mittlere Dosis und anschließend auf eine hohe Dosis erhöhen. In den darauffolgenden 14 Wochen erhielten die Teilnehmer die höchste Dosis, die sie ohne größere Probleme vertragen konnten. In diesem Zeitraum konnten die Studienärzte die Dosis der Teilnehmer je nach Bedarf anpassen.

Zusätzlich zu ihrer zugewiesenen Behandlung durften die Teilnehmer ihre normalen PAH-Medikamente weiterhin anwenden, sofern diese keine Probleme mit QCC374 verursachten.

Weder die Teilnehmer noch das Studienpersonal wussten, welche Behandlung die einzelnen Teilnehmer während der Studie erhielten. Einige klinische Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da die Ergebnisse der Studie beeinflusst werden können, wenn bekannt ist, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten. Nicht zu wissen, welche Behandlung die Teilnehmer erhalten, hilft dabei, die Ergebnisse neutral auszuwerten.

Wie lief diese Studie ab?

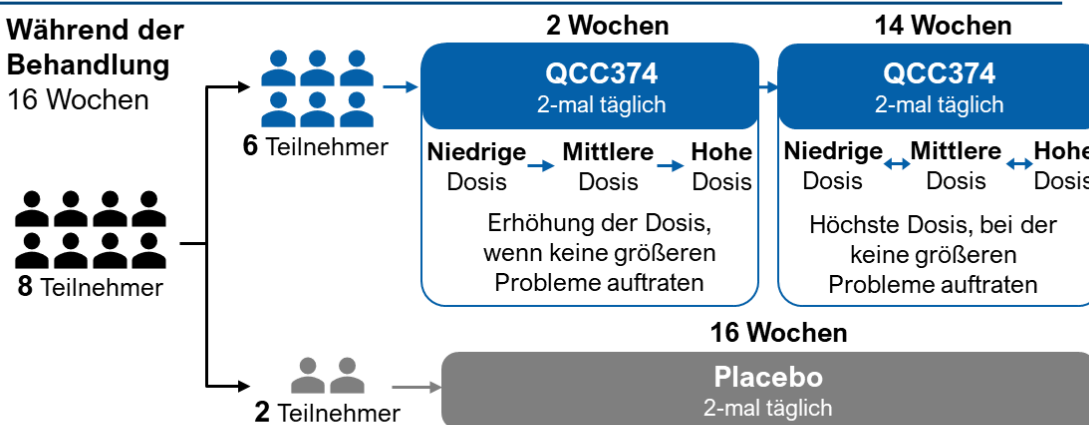
Diese klinische Studie begann im September 2017. Die Teilnehmer traten der klinischen Studie zu unterschiedlichen Zeitpunkten bei. Im Juni 2018 wurde die Studie vorzeitig beendet, da der Auftraggeber der Studie beschloss, sämtliche Untersuchungen zu QCC374 bei Patienten mit PAH einzustellen.

Die Entscheidung zur vorzeitigen Beendigung stand nicht im Zusammenhang mit der Sicherheit von QCC374. 2 Teilnehmer schlossen diese Studie nicht ab.

Aufbau der Studie:

Vor der Behandlung

- Der Blutdruck in der Lunge der Teilnehmer wurde gemessen.
- Der Gesundheitszustand aller Teilnehmer wurde überprüft, um sicherzustellen, dass diese an der klinischen Studie teilnehmen konnten.



- Der Blutdruck in der Lunge der Teilnehmer wurde 2–4 Stunden nach der letzten Dosis gemessen.

Nach der Behandlung

- Die Teilnehmer hatten die Möglichkeit, nach Abschluss dieser Studie an einer anderen, ähnlichen Studie teilzunehmen.
- Die Teilnehmer, die an dieser nicht teilnahmen, hatten etwa 4 Wochen nach ihrer letzten Dosis einen abschließenden Besuchstermin.

Zu welchen wesentlichen Ergebnissen kam die klinische Studie?



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.

Es bedarf vieler klinischer Studien, um herauszufinden, ob ein Medikament oder eine Behandlung sicher und wirksam ist. Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf eine einzelne klinische Studie. Sie sollten auf Basis der Ergebnisse dieser klinischen Studie keine Entscheidungen über Ihre medizinische Versorgung treffen. Sprechen Sie stets mit einem Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer medizinischen Versorgung vornehmen.

Konnte der Blutdruck in den Lungenarterien durch QCC374 gesenkt werden?



Da die Studie vorzeitig beendet wurde, wurden zu wenige Studienteilnehmer untersucht, um feststellen zu können, ob QCC374 den Blutdruck in der Lunge senken konnte.

Der Blutdruck in der Lunge der Teilnehmer vor der Behandlung wurde mit dem Blutdruck nach der Behandlung verglichen. Außerdem wurde die Veränderung des Blutdrucks bei Teilnehmern, die QCC374 erhielten, verglichen mit der Veränderung des Blutdrucks bei Teilnehmern, die Placebo erhielten. Es konnte nicht festgestellt werden, ob QCC374 den Blutdruck in der Lunge senken konnte.

Welche gesundheitlichen Probleme traten bei den Teilnehmern während der Studie auf?

Gesundheitliche Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet.

Ein **unerwünschtes Ereignis** ist jedes ungewollte 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 untersuchte Medikament verursacht worden 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 möglicherweise durch das untersuchte Medikament hervorgerufen wurden oder nicht.



Es haben sich in dieser Studie keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben. Häufigstes unerwünschtes Ereignis waren Kopfschmerzen.

Wenn Blutproben entnommen oder Urinproben abgegeben wurden, oder die Teilnehmer zu Besuchsterminen ins Studienzentrum kamen, wurde geprüft, ob unerwünschte Ereignisse aufgetreten waren. Auch die Teilnehmer selbst meldeten unerwünschte Ereignisse. Die Anzahl der Teilnehmer, bei denen während der Behandlung mit QCC374 unerwünschte Ereignisse aufgetreten sind, wurde verglichen mit der Anzahl der Teilnehmer mit unerwünschten Ereignissen, die Placebo erhielten.

Unerwünschte Ereignisse während dieser Studie

Teilnehmer, auf die Folgendes zutraf:	QCC374 (von 6 Teilnehmern)	Placebo (von 2 Teilnehmern)
Unerwünschte Ereignisse	 100 % (6)	 50 % (1)
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse	 17 % (1)	 0 %
Vorzeitige Beendigung der Studienteilnahme aufgrund unerwünschter Ereignisse	 17 % (1)	 0 %

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten bei den Teilnehmern auf?

Bei einem Teilnehmer trat während der klinischen Studie ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis auf, nämlich:

- **Synkope:** kurzzeitige Bewusstlosigkeit

Keine weiteren Teilnehmer berichteten während dieser Studie über schwerwiegende unerwünschte Ereignisse und kein Teilnehmer verstarb.

Welche Arten von unerwünschten Ereignissen traten bei den Teilnehmern auf?

Einige Teilnehmer berichteten über unerwünschte Ereignisse, die nicht schwerwiegend waren.












In diesem Abschnitt werden zwei Arten von unerwünschten Ereignissen aufgeführt:

- Häufigste unerwünschte Ereignisse, die bei mindestens 2 Teilnehmern auftraten
- Weniger häufige unerwünschte Ereignisse, die nur bei 1 Teilnehmer auftraten









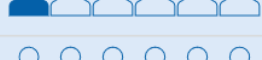

















Weitere Informationen über die unerwünschten Ereignisse, die von Teilnehmern im Rahmen dieser klinischen Studie berichtet wurden, finden Sie unter [novctrd.com](https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02201221). Verwenden Sie den Studiencode **CQCC374X2201**, um die wissenschaftliche Zusammenfassung aufzurufen.

Häufigste Arten unerwünschter Ereignisse

	QCC374 (von 6 Teilnehmern)	Placebo (von 2 Teilnehmern)
Kopfschmerzen	 83 % (5)	 0 %
Übelkeit	 50 % (3)	 0 %
Erkältung Kombinierte Entzündung der Nase und des Rachens	 33 % (2)	 50 % (1)
Rötungen im Gesicht oder anderen Hautpartien	 50 % (3)	 0 %
Durchfall	 33 % (2)	 0 %
Kieferschmerzen	 33 % (2)	 0 %

Weniger häufige Arten unerwünschter Ereignisse

	QCC374 (von 6 Teilnehmern)	Placebo (von 2 Teilnehmern)
Karies	 0 %	 50 % (1)
Veränderung des Geschmacksempfindens Störung des Geschmacksempfindens	 17 % (1)	 0 %
Ohrinfektion	 17 % (1)	 0 %
Magen-Darm-Beschwerden z. B. Verstopfung oder Sodbrennen	 17 % (1)	 0 %
Rückfluss von Mageninhalt in die Speiseröhre	 17 % (1)	 0 %
Kater	 0 %	 50 % (1)
Unbehaglichkeit	 17 % (1)	 0 %
Schmerzen in den Schultern, Armen, Beinen oder im Nacken	 17 % (1)	 0 %
Hautrötungen Erythem	 17 % (1)	 0 %
Magen-Darm-Grippe	 17 % (1)	 0 %
Erbrechen	 17 % (1)	 0 %
Magenverstimmung	 17 % (1)	 0 %

Welche Erkenntnisse wurden aus der Studie gewonnen?

Selbst wenn eine klinische Studie vorzeitig beendet wird, können Wissenschaftler Erkenntnisse aus den erfassten Informationen gewinnen. Da sich keine neuen Sicherheitsbedenken ergeben haben, hat das Studienteam mehr über die Sicherheit von QCC374 erfahren.



Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen klinischen Studie. Eine einzelne klinische Studie kann kein vollständiges Bild über Nutzen und Risiken des untersuchten Medikaments vermitteln. Es müssen die Ergebnisse vieler Studien analysiert werden, um herauszufinden, welche Therapien bei Patienten mit PAH angewendet werden können. Diese Zusammenfassung zeigt ausschließlich 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?



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. Rufen Sie die Website novctrd.com auf.
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 „**CQCC374X2201**“ in das Suchfeld ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].



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.

Diese klinische Studie wurde auf den folgenden Websites registriert:

- ClinicalTrials.gov – <https://clinicaltrials.gov/>
Geben Sie „**CQCC374X2201**“ in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein, um nach dieser Studie zu suchen.

Vollständiger Studientitel:

Eine randomisierte, placebokontrollierte, Teilnehmer- und Studienarzt-verblindete Parallelgruppenstudie zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Wirksamkeit von QCC374 bei der Behandlung von Patienten mit pulmonal-arterieller Hypertonie [englischer Studientitel: A randomized, parallel-group, placebo-controlled subject and investigator blinded study to assess the safety, tolerability, pharmacokinetics and efficacy of QCC374 in the treatment of pulmonary arterial hypertension]

Vielen Dank!

Novartis möchte sich bei allen Studienteilnehmern bedanken, die diese klinische Studie ermöglicht haben. Durch den Einsatz der Studienteilnehmer konnten wichtige medizinische Fragestellungen beantwortet und Erkenntnisse über eine mögliche medizinische Behandlung gewonnen werden. Es bedarf vieler freiwilliger Teilnehmer und vieler klinischer Studien, um Fortschritte in der medizinischen Forschung zu erzielen.



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