

Auftraggeber: Novartis
Studienmedikament: LIK066
Studiencode: CLIK066X2205

Vielen Dank!

Wir möchten allen Studienteilnehmern herzlich dafür danken, dass sie an der klinischen Studie mit dem Medikament LIK066 teilgenommen haben. Alle Studienteilnehmer haben dazu beigetragen, dass Wissenschaftler neue Erkenntnisse über die Wirkung von LIK066 bei Frauen mit polyzystischem Ovarsyndrom (PCO-Syndrom) gewinnen konnten.

Diese Studie wurde von Novartis in Auftrag gegeben und finanziert. Es ist uns ein Anliegen, allen Studienteilnehmern und interessierten Patienten Zugang zu den Ergebnissen dieser Studie zu ermöglichen. Eine unabhängige gemeinnützige Organisation namens CISCRP hat diese Zusammenfassung der Studienergebnisse erstellt. Wir hoffen, sie stärkt das Bewusstsein in der Öffentlichkeit dafür, welch großen Beitrag Studienteilnehmer für die medizinische Forschung leisten.

Wenn Sie an der Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an den Studienarzt oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Was ist seit dem Ende der Studie geschehen?

Die Studiendauer für die einzelnen Teilnehmer betrug etwas über 2 Monate. Die Gesamtdauer der Studie betrug jedoch 11 Monate, da die Teilnehmer die Behandlung zu verschiedenen Zeitpunkten begannen und beendeten. Die Studie begann im Juli 2017 und endete im Juni 2018.

Insgesamt nahmen 29 Patienten an der Studie teil, die in den USA und Deutschland durchgeführt wurde. Nach Studienende prüfte der Auftraggeber die Daten und verfasste einen Bericht über die Studienergebnisse. Die vorliegende Zusammenfassung basiert auf diesem Bericht.

Warum war diese Studie notwendig?

Wissenschaftler suchen nach einer neuen Behandlungsmöglichkeit für das PCO-Syndrom. Bevor ein neues Medikament für Patienten zugelassen werden kann, führen Wissenschaftler klinische Studien durch, um mehr über seine Sicherheit und Wirkung zu erfahren.

Bei Frauen mit PCO-Syndrom liegt ein Ungleichgewicht der Sexualhormone vor. Dies kann zu unregelmäßiger Monatsblutung, Schwangerschaftsbeschwerden und anderen gesundheitlichen Problemen führen. Ein Ungleichgewicht der Sexualhormone kann sich auch auf andere Hormone und Eiweiße (Proteine) im Körper auswirken. Eines dieser Hormone ist Insulin, welches für die Senkung des Blutzuckerspiegels verantwortlich ist. Der Zucker im Blut wird auch als Glukose bezeichnet.

Bei Frauen mit PCO-Syndrom ist der Insulinspiegel häufig erhöht. Durch Gewichtszunahme und Fettleibigkeit können die Insulinwerte noch weiter ansteigen. Hohe Insulinwerte können wiederum bestimmte Sexualhormone im Körper beeinflussen, beispielsweise Testosteron. Deswegen wird das PCO-Syndrom häufig mit einem Medikament behandelt, das den Insulinspiegel und den Blutzuckerspiegel senkt.

In dieser Studie sollte LIK066 genauer untersucht werden. Dieses Studienmedikament senkt die Glukosemenge, die über die Nahrung aufgenommen werden kann. Außerdem erhöht es die Menge von Glukose, die der Körper über die Nieren ausscheiden kann. In dieser Studie wurde LIK066 mit einem Placebo verglichen. Ein Placebo sieht genauso aus wie das Studienmedikament, enthält jedoch keinen Wirkstoff. Durch die Verwendung eines Placebos können Wissenschaftler die tatsächliche Wirkung des Studienmedikaments besser verstehen.

Die wichtigsten Fragen, die in dieser Studie beantwortet werden sollten, waren:

- Senkte LIK066 den Testosteronspiegel im Blut?
- Veränderte LIK066 die Konzentration anderer Hormone und Proteine im Blut?
- Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern auf?

Um die in dieser Studie gestellten Fragen zu beantworten, bat das Studienteam um die Mitwirkung von Frauen mit PCO-Syndrom. Diese Frauen waren übergewichtig oder fettleibig und hatten erhöhte Insulinwerte. Die Frauen in dieser Studie waren zwischen 19 und 39 Jahren alt, als sie in die Studie aufgenommen wurden.

Um welche Art von Studie handelte es sich?

In dieser Studie erhielten die Teilnehmer entweder LIK066 oder das Placebo. Das Studienmedikament wurde den Teilnehmern mithilfe eines Computerprogramms nach dem Zufallsprinzip zugeteilt. Diese Vorgehensweise ermöglicht eine möglichst neutrale Auswertung der Ergebnisse.

Es handelte sich um eine sogenannte „doppelblinde“ Studie. Das bedeutet, dass weder die Teilnehmer, noch die Studienärzte, das Studienpersonal oder das Personal des Auftraggebers wussten, welche Behandlung jeder Teilnehmer erhielt. Einige Studien werden auf diese Weise durchgeführt, da das Wissen darüber, welcher Teilnehmer welches Medikament erhält, die Studienergebnisse beeinflussen kann.

Nach Studienende erfuhr der Auftraggeber der Studie, welche Behandlung die einzelnen Patienten erhalten hatten, um einen Bericht der Studienergebnisse zu verfassen. Die Identität der einzelnen Teilnehmer war dem Personal des Auftraggebers dabei nicht bekannt.

Was geschah während der Studie?

Vor Behandlungsbeginn führten die Studienärzte verschiedene Untersuchungen durch, um sicherzugehen, dass die Studie für die Studienteilnehmer geeignet war. Diese Phase dauerte 1 bis 6 Wochen. Dabei wurde(n):

- der allgemeine Gesundheitszustand der Teilnehmer überprüft
- bei den Teilnehmern erfragt, welche Medikamente sie einnahmen
- Blut- und Urinproben entnommen
- die Hormon- und Blutzuckerwerte der Teilnehmer gemessen

Diese Untersuchungen wurden während der Behandlungsphase wiederholt.

Während der Behandlung nahmen die Teilnehmer 3-mal täglich, 14 Tage lang, entweder LIK066 oder das Placebo als Tablette ein. An Tag 15 nahmen die Teilnehmer LIK066 oder das Placebo 1-mal vor dem Frühstück ein. Die Dosis des Studienmedikaments wurde in Milligramm gemessen, abgekürzt als mg.

Das folgende Diagramm zeigt, welche Behandlung die Teilnehmer während der Studie erhielten.

	<ul style="list-style-type: none"> • 15 Teilnehmer erhielten 50 mg LIK066. • 14 Teilnehmer erhielten das Placebo.
	<ul style="list-style-type: none"> • LIK066 oder Placebo wurden als Tablette geschluckt.
	<ul style="list-style-type: none"> • Die Teilnehmer nahmen LIK066 oder das Placebo über einen Zeitraum von 14 Tagen 3-mal täglich vor den Mahlzeiten ein. An Tag 15 nahmen die Teilnehmer LIK066 oder das Placebo 1-mal vor dem Frühstück ein.

Nach Behandlungsende besuchten die Teilnehmer das Studienzentrum etwa 7 Tage nachdem sie die letzte Dosis LIK066 oder das Placebo eingenommen hatten. An diesem Termin überprüften die Studienärzte den Gesundheitszustand der Teilnehmer und entnahmen Blut- und Urinproben.

Zu welchen Ergebnissen kam die Studie?

Die vorliegende Zusammenfassung bezieht sich auf die Gesamtergebnisse dieser Studie, nicht auf die persönlichen Ergebnisse einzelner Patienten. Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen Studie. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen. Anhand der Ergebnisse einer einzelnen Studie sollten keine medizinischen Entscheidungen getroffen werden. Konsultieren Sie stets einen Arzt, bevor Sie Änderungen an Ihrer Medikation oder an Ihrem Behandlungsplan vornehmen.

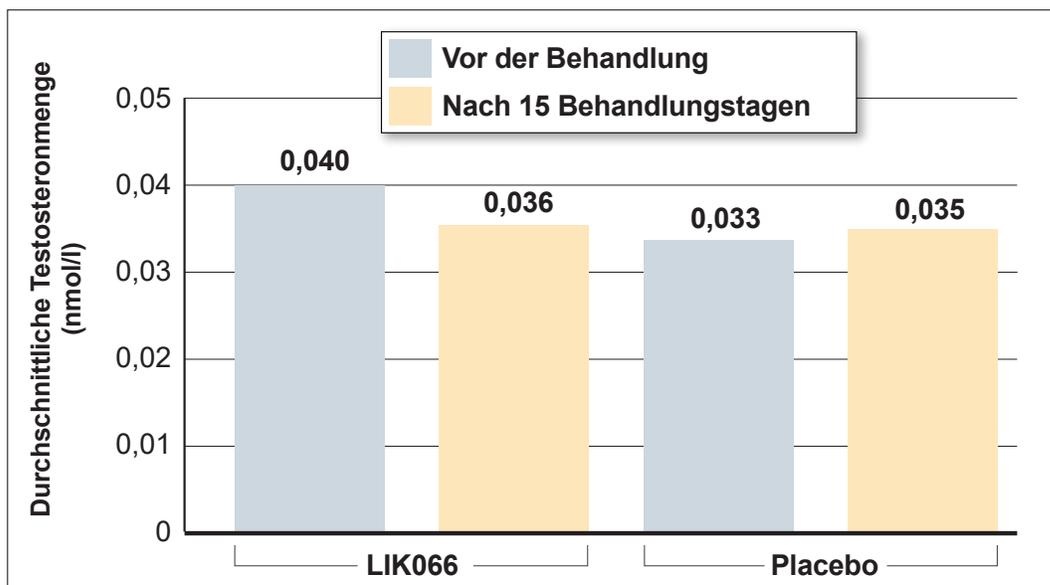
Senkte LIK066 den Testosteronspiegel im Blut?

Um diese Frage zu beantworten, wurden den Teilnehmern jeweils vor der ersten Medikamentengabe und nach 15 Behandlungstagen Blutproben entnommen. Die Testosteronmenge wurde in der Einheit Nanomol pro Liter Blut, abgekürzt als nmol/l, gemessen.

Die Untersuchung ergab, dass die Teilnehmer, die LIK066 eingenommen hatten, nach 15 Behandlungstagen einen etwas niedrigeren Testosteronspiegel hatten. Der Testosteronspiegel der Teilnehmer, die das Placebo eingenommen hatten, war nach 15 Behandlungstagen etwas höher. Der Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen war jedoch zu gering, als dass man mit Sicherheit sagen konnte, ob LIK066 den Testosteronspiegel im Blut senkte.

Das folgende Diagramm zeigt die durchschnittliche Testosteronmenge im Blut der Teilnehmer vor und nach 15 Behandlungstagen.

Durchschnittliche Testosteronmenge im Blut der Teilnehmer



Veränderte LIK066 die Konzentration anderer Hormone und Proteine im Blut?

Um diese Frage zu beantworten, untersuchten die Studienärzte Blutproben, die den Teilnehmern vor der Behandlung und nach 15 Behandlungstagen entnommen wurden. Man wollte herausfinden, ob sich die Konzentration anderer Hormone und Proteine, auf die sich das PCO-Syndrom ebenfalls auswirken kann, veränderte.

Frauen mit PCO-Syndrom haben üblicherweise höhere Testosteronspiegel als Frauen ohne PCO-Syndrom. Wenn der Testosteronspiegel bei Frauen mit PCO-Syndrom erhöht ist, kann dies auch zu Veränderungen bei anderen Hormonen und Proteinen führen.

Die Untersuchung ergab, dass Teilnehmer, die LIK066 eingenommen hatten, im Vergleich zur Placebo-Gruppe eine veränderte Konzentration dieser Hormone und Proteine aufwiesen. Bei den meisten untersuchten Hormonen und Proteinen war der Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen jedoch zu gering, als dass diese Veränderungen eindeutig auf LIK066 zurückgeführt werden konnten.

Das folgende Diagramm zeigt die Veränderungen der Hormon- und Proteinspiegel, die 15 Tage nach der Behandlung mit LIK066 gemessen wurden, im Vergleich zu Placebo.

Veränderungen der Hormon- und Proteinspiegel nach Einnahme von LIK066 im Vergleich zu Placebo

Hormon oder Protein	Bedeutung für PCO-Syndrom	Veränderung nach 15 Behandlungstagen
Androstendion	Ein Hormon, das die Testosteronbildung aus DHEA unterstützt. Ein erhöhter Androstendion-Spiegel ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Abnahme um 18 %
Dehydroepiandrosteron (DHEA)	Ein Hormon, das vom Körper zur Bildung von Testosteron oder Östrogen genutzt werden kann. Ein erhöhter DHEA-Spiegel ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Abnahme um 31 %
Dehydroepiandrosteron-Sulfat (DHEAS)	Ein Hormon, das beim Abbau von DHEA entsteht. Ein erhöhter DHEAS-Spiegel ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Abnahme um 24 %
Follikelstimulierendes Hormon (FSH)	In der Hirnanhangsdrüse gebildetes und ausgeschüttetes Hormon. Ein geringer FSH-Spiegel ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Anstieg um 27 %
Freier Androgenindex (FAI)	Die Testosteronmenge, die im Körper verfügbar ist. Ein erhöhter FAI ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Abnahme um 21 %
Luteinisierendes Hormon (LH)	In der Hirnanhangsdrüse gebildetes und ausgeschüttetes Hormon. Ein erhöhter LH-Spiegel ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Anstieg um 25 %
Sexualhormon-bindendes-Globulin (SHBG)	Bindet Hormone wie z. B. Testosteron. Nach dem Binden an die Hormone verhindert SHBG, dass die Hormone im Körper wirken können. Eine geringe SHBG-Konzentration im Blut ist ein Anzeichen für das PCO-Syndrom.	Anstieg um 15 %
Gesamt-Testosteron	Eine erhöhte Testosteronproduktion in den Eierstöcken ist das wichtigste Erkennungsmerkmal des PCO-Syndroms bei Frauen.	Abnahme um 9 %

Welche medizinischen Probleme traten bei den Teilnehmern auf?

Im Rahmen der Studie sollte auch untersucht werden, welche medizinischen Probleme bei den Teilnehmern im Studienverlauf auftraten. Zudem sollte festgestellt werden, ob die Gesundheit der Teilnehmer während der Studie in anderer Weise beeinträchtigt wurde.

Medizinische Probleme, die im Rahmen klinischer Studien auftreten, werden als „unerwünschte Ereignisse“ bezeichnet. Ein unerwünschtes Ereignis ist ein Anzeichen oder Symptom, das bei Teilnehmern während einer Studie auftritt. Ein unerwünschtes Ereignis wird als „schwerwiegend“ angesehen, wenn es lebensbedrohlich ist, anhaltende Probleme verursacht oder eine Versorgung der Teilnehmer im Krankenhaus erforderlich macht.

Diese unerwünschten Ereignisse können durch das Studienmedikament verursacht sein oder auch nicht. Es bedarf vieler Untersuchungen, um herauszufinden, ob ein Medikament ein medizinisches Problem verursacht. Während einer Studie werden alle medizinischen Probleme gemeldet und dokumentiert, unabhängig davon, ob diese durch das Studienmedikament hervorgerufen wurden oder nicht. Wenn neue Medikamente untersucht werden, verfolgen die Wissenschaftler daher alle medizinischen Probleme nach, die bei den Teilnehmern auftreten.

Bei wie vielen Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf?

In dieser Studie traten bei 86,2 % aller Teilnehmer in beiden Behandlungsgruppen unerwünschte Ereignisse auf, nämlich bei 25 von 29 Teilnehmern.

Kein Teilnehmer brach die Einnahme des Studienmedikaments ab, weil ein unerwünschtes Ereignis aufgetreten war.

Die folgende Tabelle zeigt, bei wie vielen Teilnehmern in jeder Behandlungsgruppe dieser Studie unerwünschte Ereignisse auftraten.

Unerwünschte Ereignisse in dieser Studie

	50 mg LIK066 (von 15 Teilnehmern)	Placebo (von 14 Teilnehmern)	Insgesamt (von 29 Teilnehmern)
Bei wie vielen Teilnehmern traten unerwünschte Ereignisse auf?	100 % (15)	71,4 % (10)	86,2 % (25)

Welche schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse traten auf?

Bei keinem der Teilnehmer traten während dieser Studie schwerwiegende unerwünschte Ereignisse auf.

Kein Teilnehmer verstarb während dieser Studie.

Was waren die häufigsten unerwünschten Ereignisse?

Das häufigste unerwünschte Ereignis in dieser Studie war Durchfall. Dieser trat bei 62,1 % der Teilnehmer auf, also bei 18 von 29 Teilnehmern.

Die folgende Tabelle zeigt die unerwünschten Ereignisse, die bei mindestens zwei Teilnehmern in dieser Studie auftraten. Es gab noch weitere unerwünschte Ereignisse, von denen jedoch weniger Teilnehmer betroffen waren.

Unerwünschte Ereignisse in dieser Studie

	50 mg LIK066 (von 15 Teilnehmern)	Placebo (von 14 Teilnehmern)	Insgesamt (von 29 Teilnehmern)
Durchfall	100 % (15)	21,4 % (3)	62,1 % (18)
Übelkeit	33,3 % (5)	14,3 % (2)	24,1 % (7)
Abgehende Winde	40,0 % (6)	0,0 % (0)	20,7 % (6)
Normale Monatsblutung	26,7 % (4)	14,3 % (2)	20,7 % (6)
Kopfschmerzen	26,7 % (4)	7,1 % (1)	17,2 % (5)
Durst	26,7 % (4)	7,1 % (1)	17,2 % (5)
Kurze oder sehr leichte Monatsblutung	13,3 % (2)	7,1 % (1)	10,3 % (3)
Erkältung	13,3 % (2)	7,1 % (1)	10,3 % (3)
Aufgeblähter Bauch	13,3 % (2)	0,0 % (0)	6,9 % (2)
Bauchschmerzen	13,3 % (2)	0,0 % (0)	6,9 % (2)

Inwiefern war diese Studie für Patienten und Wissenschaftler hilfreich?

Die hier beschriebenen Informationen lieferten neue Erkenntnisse darüber, wie sich LIK066 auf die Hormone und Proteine von Frauen mit PCO-Syndrom auswirkt. Die Veränderung der Hormonspiegel war jedoch zu gering, als dass man mit Sicherheit sagen konnte, ob LIK066 diese bewirkt hatte. Insgesamt betrachtet zeigen die Ergebnisse jedoch, dass diese Behandlungsart für Patienten mit PCO-Syndrom hilfreich sein könnte. Es bedarf der Auswertung vieler Studien, um festzustellen, welche Therapien bei Patienten mit PCO-Syndrom angewendet werden können.

Die hier dargestellten Ergebnisse sind die Ergebnisse einer einzigen Studie. Diese Zusammenfassung zeigt ausschließlich die wichtigsten Ergebnisse dieser einen Studie mit einer geringen Anzahl von Teilnehmern. Diese Teilnehmer wurden zudem nur über einen kurzen Zeitraum mit LIK066 behandelt. Andere klinische Studien können neue Erkenntnisse liefern oder zu anderen Ergebnissen kommen. Es bedarf des Einsatzes vieler freiwilliger Teilnehmer an klinischen Studien weltweit, um Fortschritte in der medizinischen Forschung zu ermöglichen.

Wo finde ich weitere Informationen zu dieser Studie?

Nähere Informationen zu den Ergebnissen dieser klinischen Studie finden Sie in der wissenschaftlichen Zusammenfassung der Ergebnisse auf der englischsprachigen Webseite „Novartis Clinical Trial Results Database“ (www.novctrd.com). Klicken Sie oben rechts auf der Seite auf „**Clinical trial results and trial summary for patients**“ [Studienergebnisse und Zusammenfassungen für Patienten]. Akzeptieren Sie die Nutzungsbedingungen und klicken Sie unten links auf der Seite auf „**Search by study number**“ [Nach Studiencode suchen]. Geben Sie „**CLIK066X2205**“ in das Suchfeld ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].

Wenn Sie die Website in einer anderen Sprache als Englisch anzeigen möchten, können Sie oben rechts auf der Seite auf die Schaltfläche „Google Translate“ klicken.

Wenn Sie Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an den Studienarzt oder das Studienpersonal Ihres Studienzentrums.

Weitere Informationen zu dieser Studie finden Sie auch auf der folgenden englischsprachigen Webseite:

- www.clinicaltrials.gov. Geben Sie nach dem Aufrufen der Webseite „**CLIK066X2205**“ in das Suchfeld „**Other terms**“ [Sonstige Bezeichnungen] ein und klicken Sie auf „**Search**“ [Suchen].

Sind weitere klinische Studien geplant, werden sie auf den oben genannten öffentlichen Webseiten oder unter www.novartisclinicaltrials.com aufgeführt. Suchen Sie nach „**LIK066**“.

Vollständiger Studientitel: Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte pharmakodynamische Studie mit oral verabreichtem LIK066 bei übergewichtigen und adipösen Frauen mit polyzystischem Ovarsyndrom

Vielen Dank!

Als Teilnehmer an einer klinischen Studie gehören Sie zu einer großen Gemeinschaft von Patienten weltweit. Sie ermöglichen es Wissenschaftlern, wichtige medizinische Fragestellungen zu beantworten und neue Behandlungen zu erproben. Studienteilnehmer leisten einen unschätzbaren Beitrag zur medizinischen Forschung und wir möchten allen Studienteilnehmern für ihren enormen Einsatz danken.



Das „Center for Information & Study on Clinical Research Participation“ (CISCRP) ist eine gemeinnützige Organisation, deren Hauptanliegen es ist, die Öffentlichkeit über die Teilnahme von Patienten an klinischen Studien aufzuklären und zu informieren.

CISCRP
One Liberty Square, Suite 1100
Boston, MA 02109, USA

+1-617-725-2750 (USA) • www.ciscrp.org



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