

# 임상시험 요약

## IDH1 돌연변이가 있는 절제 불가능 또는 전이성 담관암종 환자에서 경구용 임상시험용 의약품 AG-120의 유효성을 시험하기 위한 제 3상 임상시험

**전체 과학적 제목:** IDH1 돌연변이를 가진 절제 불가능 또는 전이성 담관암종을 앓고 있는 이전에 치료받은 시험대상자들에서 AG-120의 제 3상, 다기관, 무작위 배정, 이중 눈가림, 위약 대조 임상시험

임상시험에 참여한 모든 시험대상자에게 감사드립니다. 임상시험 시험대상자들은 환자의 이익을 위한 과학 발전에 매우 중요합니다.

본 문서는 임상시험의 요약입니다. 이는 일반 독자를 위해 작성되었습니다.

연구자들은 어떤 약물이 가장 효과가 있고 환자에게 가장 안전한지 결정하기 위해 많은 임상시험이 필요합니다. 의학을 발전시키기 위해, 전 세계에서 환자들이 참여하는 여러 임상시험이 진행되고 있습니다. 이 요약 내용은 한 임상시험의 결과만을 보여줍니다. 동일한 약물을 평가하는 다른 임상시험에서 다른 결과가 발견될 수 있습니다. 여러분은 이 단일 임상시험의 결과를 근거로 현재 받고 있는 치료를 변경해서는 안 됩니다. 본 임상시험에 대해 질문이 있는 경우, 담당 의사에게 문의하십시오.

### 요약 내용:

치료 분야:  
암

질병:  
담관암종

임상시험 단계:  
제 3상

2022년 12월 16일  
최종 버전

1. 이 임상시험을 실시한 이유는 무엇입니까?
2. 이 임상시험은 언제, 어디에서 실시했습니까?
3. 누가 임상시험에 참여했습니까?
4. 시험대상자들은 어떤 시험약을 투여받았습니까?
5. 임상시험은 어떻게 수행되었습니까?
6. 어떤 부작용이 있었습니까?
7. 임상시험 결과는 어떠했습니까?
8. 이 임상시험이 연구에 어떻게 도움이 되었습니까?
9. 추가 임상시험에 대한 계획이 있습니까?
10. 추가 정보

# 임상시험 요약

IDH1 돌연변이가 있는 절제 불가능 또는 전이성 담관암종 환자에서 경구용 임상시험용 의약품 AG-120의 유효성을 시험하기 위한 제3상 임상시험

## 1 이 임상시험을 실시한 이유는 무엇입니까?

이 임상시험은 이보시데넵(AG-120 또는 TIBSOVO라고도 함)이 중증 유형의 담관암 환자들에서 효과적인 치료인지 시험하기 위해 실시했습니다.

담관암(담관암종)은 효과적인 치료 선택지가 거의 없는 중증의 희귀 질병입니다. 일부 암세포는 IDH1(이소시트르산탈수소효소 1) 유전자에서 돌연변이라는 변화를 보입니다. 유전자는 세포에 단백질을 만드는 방법을 알려주는 지침을 전달합니다. IDH1 유전자에 변화가 있는 세포는 비정상적인 IDH1 단백질을 만듭니다. 비정상 단백질은 암세포를 성장시켜 전신으로 퍼지게 하는 화학물질을 만듭니다. 비정상적인 IDH1 단백질은 여러 다른 유형의 암에서 발견됩니다.

이보시데넵은 비정상적인 IDH1 단백질의 활성을 차단하는 약물입니다. 이는 이미 미국에서 혈액과 골수 내 암의 일종인 급성 골수성 백혈병 환자들의 치료제로 승인되었습니다.

이 제3상 임상시험의 주요 목표는 IDH1 유전자에 변화가 있는 중증의 담관암 환자들에서 위약과 비교했을 때 이보시데넵이 어떻게 작용하는지 시험하는 것이었습니다. 위약은 이보시데넵처럼 보이지만 어떠한 약물도 들어 있지 않습니다.

## 2 이 임상시험은 언제, 어디에서 실시했습니까?

### 언제 임상시험이 실시되었습니까?

- 이 임상시험은 2017년 2월에 시작되었습니다.
- 이 임상시험은 2021년 5월에 종료되었습니다.

### 시험은 어디에서 실시되었습니까?

본 임상시험은 다음 국가에서 실시되었습니다.

국가	시험대상자 수
미국	125
스페인	27
한국	12
영국	11
이탈리아	6
프랑스	6

## 3 누가 임상시험에 참여했습니까?

### 어떤 시험대상자가 임상시험에 선정되었습니까?

임상시험 시험대상자들은 다음의 조건을 갖춰야 했습니다.

- 만 18세 이상
- 수술로 치료할 수 없는 중증 담관암 진단을 받은 경우
- IDH1 유전자에 변화가 있는 암세포가 있는 경우
- 이전에 효과가 없었던 1~2 가지 다른 항암제를 투여한 경우

### 몇 명의 시험대상자가 이 임상시험에 참여했습니까?

총 187 명의 시험대상자, 즉 119 명의 여성과 68 명의 남성이 임상시험에 참여했습니다.

### 시험대상자의 연령은 몇 살이었습니까?

가장 어린 시험대상자는 만 33 세였습니다. 가장 나이가 많은 연령은 만 83 세였습니다. 평균 연령은 만 61 세였습니다.

## 4 시험대상자들은 어떤 시험약을 투여받았습니까?

시험약은 이보시데넵이었습니다. 이 임상시험의 모든 시험대상자가 약물을 투여받지는 않았습니다. 일부는 시험약처럼 보이지만 약물이 들어있지 않은 위약을 투여받았습니다.

매일 시험대상자들은 다음을 투여했습니다.

- 이보시데넵 정제 총 500 밀리그램 용량 경구 투여, 또는
- 위약 정제 경구 투여

또한 각 시험대상자는 담관암에 대해 일상적인 의학적 치료를 계속 받았습니다.

시험대상자들은 “주기”라고 하는 정해진 기간 동안 매일 이보시데넵 또는 위약을 투여했습니다. 각 주기는 28 일 동안 지속되었습니다. 이러한 주기는 다음 기간 동안 계속되었습니다.

- 암이 악화되지 않았고
- 시험대상자가 심한 중증의 부작용을 경험하지 않은 경우.

# 임상시험 요약

IDH1 돌연변이가 있는 절제 불가능 또는 전이성 담관암종 환자에서 경구용 임상시험용 의약품 AG-120의 유효성을 시험하기 위한 제 3상 임상시험

시험대상자는 언제든지 투여를 중단하기로 결정할 수 있었습니다.

## 5 임상시험은 어떻게 수행되었습니까?

본 임상시험은 “무작위배정” 임상시험이라고 합니다. 이는 컴퓨터 프로그램이 시험대상자를 우연에 따라 두 시험군 중 하나에 배정함을 의미합니다(이보시데넵군에 배정될 확률은 2/3, 위약군에 배정될 확률은 1/3).

본 임상시험에서:

- 126 명의 시험대상자가 이보시데넵군에 배정되었습니다.
- 61 명의 시험대상자가 위약군에 배정되었습니다.
- 이보시데넵군의 3 명의 시험대상자들과 위약군의 2 명의 시험대상자들이 투여를 받기 전 임상시험을 중단했습니다.

투여 시작 후, 위약군의 43 명의 시험대상자들이 이보시데넵 투여군에 참여하는 것이 허용되었습니다. 이는 암이 악화된 후 약물로부터 이익을 얻을 수 있는 일체의 기회를 제공하기 위해 실시했습니다. 이를 “교차”라고 합니다. 교차 시험대상자들은 이보시데넵 복용을 시작하기 전 위약을 투여했기에, 위약과 이보시데넵군 모두에서 집계합니다. 임상시험 종료 시까지, 총:

- 166 명의 시험대상자가 이보시데넵을 투여했고
- 59 명의 시험대상자가 위약을 투여했습니다.

이 임상시험을 “이중 눈가림” 임상시험이라고 합니다. 즉, 시험대상자와 임상시험 의사 모두 어떤 시험약을 투여받았는지 알지 못합니다. 이는 결과에 대한 영향을 피하기 위한 것이었습니다. 43 명의 교차 시험대상자들(다른 시험대상자 미해당)의 경우, 시험대상자들과 임상시험 의사들이 모두 이보시데넵군으로의 이동을 알고 있었으므로, 임상시험은 “공개”였습니다.

이보시데넵을 투여받은 시험대상자들은 평균 6 개월 동안 투여를 지속했고, 위약을 투여받은 시험대상자들은 평균 2 개월 동안 투여를 지속했습니다. 시험대상자들은 시험약을 투여받는 동안 정기적으로 의사를 방문했습니다.

방문 동안 의사들은 시험대상자의 건강에 관한 정보를 수집했습니다.

## 6 어떤 부작용이 있었습니까?

모든 치료제와 마찬가지로, 이보시데넵은 부작용을 유발할 수 있지만, 모든 사람이 이러한 부작용을 경험하는 것은 아닙니다.

부작용은 의사들이 임상시험의 치료로 인해 발생할 수 있다고 생각하는 원치 않는 의학적 사례입니다.

아래 표는 부작용을 경험한 시험대상자 수를 보여줍니다. 결과는 임상시험과 관련된 다른 문서에 다르게 제시될 수 있습니다.

	이보시데넵 투여군 (시험대상자 166명 중)	위약군 (시험대상자 59명 중)
부작용(들)을 경험한 시험대상자	104명(62.7%)	23명(39.0%)
중대한* 부작용(들)을 경험한 시험대상자	3명(1.8%)	0명
부작용(들)으로 인해 투여를 중단한 시험대상자	2명(1.2%)	0명

\*아래의 중대한 부작용의 정의 참조

## 부작용의 유형은 무엇이었습니까?

아래 표는 임상시험에서 보고된 가장 흔한 부작용을 보여줍니다(한 군의 시험대상자 중 최소 10%에서 발생).

	이보시데넵 투여군 (시험대상자 166명 중)	위약군 (시험대상자 59명 중)
설사	35  (21.1%)	5  (8.5%)
아픈 느낌	34  (20.5%)	9  (15.3%)
구토	14  (8.4%)	7  (11.9%)
피로감	28  (16.9%)	4  (6.8%)

 = 시험대상자

# 임상시험 요약

IDH1 돌연변이가 있는 절제 불가능 또는 전이성 담관암종 환자에서 경구용 임상시험용 의약품 AG-120의 유효성을 시험하기 위한 제3상 임상시험

## 중대한 부작용은 무엇이었습니까?

부작용은 다음과 같은 경우 중대한 것으로 간주됩니다.

- 시험대상자가 입원해야 하는 경우,
- 시험대상자의 생명이 위협할 경우,
- 지속적인 손상 또는 사망을 초래하는 경우, 또는
- 의사의 소견상 의학적으로 중요한 경우.

이 임상시험에서 시험약을 투여받은 166명의 시험대상자 중 3명이 4건의 중대한 부작용(임상시험의 투여에 의해 유발된 것으로 여겨지는 중대한 원치 않는 의학적 사례)을 경험했습니다. 모든 중대한 부작용은 아래 표에 설명되어 있습니다.

	이보시데넵 투여군 (시험대상자 166명 중)	위약군 (시험대상자 59명 중)
간 문제로 인한 피부 및 눈의 황변(황달이라고도 함)	1  (0.6%)	0
빌리루빈이라는 간 혈액 검사 수치 증가(고빌리루빈혈증)	1  (0.6%)	0
심리듬에 영향을 미치는 심장의 비정상적인 전기적 활성화(QT 연장)	1  (0.6%)	0
폐 주위의 체액	1  (0.6%)	0

= 시험대상자

임상시험에서 이보시데넵 투여로 인한 것으로 간주된 원치 않는 사례로 인해 사망한 시험대상자는 없었습니다.

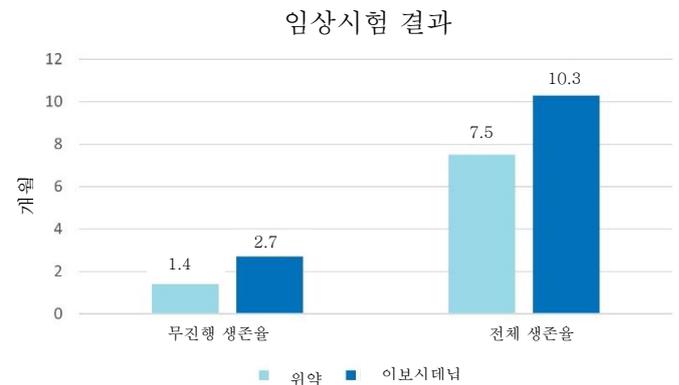
## 7 임상시험 결과는 어떠했습니까?

이 임상시험은 계획대로 완료되었습니다.

본 문서는 임상시험의 주요 목적에 대한 결과를 아래에 제시합니다.

이보시데넵이 효과적인지 시험하기 위해, 연구자들은 투여 시작부터 암이 악화될 때까지의 시간을 측정했습니다. 이를 “무진행 생존율”이라고 합니다. 이 평균 기간은 이보시데넵을 투여받은 시험대상자들의 경우 2.7개월, 위약을 투여받은 시험대상자들의 경우 1.4개월이었습니다. 이는 이 임상시험에서 투여 시작부터 암이 악화될 때까지의 시간이 위약보다 이보시데넵에서 더 길었음을 의미합니다.

연구자들은 또한 투여 시작부터 시험대상자가 사망할 때까지의 시간을 측정했습니다. 이를 “전체 생존율”이라고 합니다. 평균 시간은 이보시데넵군에서 10.3개월, 위약군에서 7.5개월이었습니다. 전체 생존 기간이 이보시데넵군에서 더 길긴 했지만, 이 결과는 단순히 우연에 의한 것이라고 할 수 없을 정도로 충분히 크지 않았다.



다른 결과는 과학 연구 요약에서 찾아볼 수 있습니다. <https://clinicaltrials.servier.com>

## 8 이 임상시험이 연구에 어떻게 도움이 되었습니까?

이 임상시험은 IDH1 유전자에 변화가 있는 이전에 치료받은 중증의 담관암 환자들에서 “무진행 생존율”이 위약보다 이보시데넵에서 더 길었음을 발견했습니다. 전반적으로, 이보시데넵으로 인한 부작용은 관리 가능했습니다.

이 임상시험의 결과는 중증 담관암 환자들의 치료에 이보시데넵 사용 승인을 받는 데 사용될 것입니다.

# 임상시험 요약

IDH1 돌연변이가 있는 절제 불가능 또는 전이성 담관암종 환자에서 경구용 임상시험용 의약품 AG-120의 유효성을 시험하기 위한 제 3상 임상시험

## 9 추가 임상시험에 대한 계획이 있습니까?

현재 이보시데넵에 관한 여러 다양한 임상시험들이 있습니다. 이 임상시험들은 이보시데넵이 IDH1 유전자의 변화가 있는 다른 유형의 암에서 효과가 있는지 시험합니다. 여기에는 백혈병과 신경아교종이라는 일종의 뇌암이 포함됩니다. 향후 다른 질환에서도 이보시데넵을 시험할 계획입니다.

프랑스 국립암계획 III(조치 5.4)의 권장사항에 따라, 본 문서는 검토 및 지침을 위해 La Ligue Nationale contre le Cancer의 암 임상시험 시험대상자 위원회에 제출되었습니다.

## 10 추가 정보

### 임상시험의 식별 번호는 무엇입니까?

- 임상시험계획서 코드: AG120-C-005
- EudraCT 번호: 2015-005117-72
- 미국 NCT 번호: NCT02989857

### 누가 임상시험을 수행했습니까?

Institut de Recherches Internationales Servier(“의뢰자”)는 프랑스의 Suresnes를 기반으로 임상시험을 조직하고 연구 자금을 지원했습니다.

### 의뢰자에게 어떻게 연락할 수 있습니까?

Servier 웹사이트를 통해 연락해 주십시오.  
<https://servier.com/en/>

### 이 임상시험에 대해 어디에서 더 자세히 알 수 있습니까?

이 웹사이트에서 임상시험에 관한 추가 정보를 찾아볼 수 있습니다.

- <https://clinicaltrials.servier.com>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu>
- <https://clinicaltrials.gov>

임상시험에 관한 일반적인 정보는 다음에서 찾아볼 수 있습니다. <https://clinicaltrials.servier.com/>