

Краткий обзор клинического исследования

Исследование для сравнения содержания в крови пэгаспаргазы (S95014) при использовании обеих лекарственных форм (жидкой и лиофилизированной) при лечении педиатрических пациентов с острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

Полное научное название: Многоцентровое, рандомизированное, открытое, сравнительное исследование фазы II в 2 параллельных группах по изучению фармакокинетики жидкой и лиофилизированной лекарственных форм пэгаспаргазы (S95014) при лечении педиатрических пациентов с впервые диагностированным острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

Мы благодарим всех участников этого исследования и членов их семей. Участники клинических исследований играют важную роль в достижении научного прогресса, тем самым принося пользу всем пациентам. Настоящий документ представляет собой краткий обзор исследования. Он составлен для широкой аудитории.

Ученым необходимо проводить множество исследований, чтобы установить, какие лекарственные препараты наиболее эффективны и безопасны для пациентов. Для прогресса медицинской науки по всему миру проводятся многие исследования с участием пациентов. В этом кратком обзоре представлены результаты только одного упомянутого исследования. В других исследованиях, в которых изучается тот же препарат, могут быть получены отличающиеся результаты. Вы не должны менять свою текущую схему лечения на основании результатов одного этого исследования. Если у Вас есть какие-либо вопросы об этом исследовании, обратитесь к своему врачу.

Терапевтическая
область:

Онкология

Заболевание:

Острый
лимфобластный
лейкоз

Фаза
исследования:

Фаза 2

Версия:

16.03.2023 г.

Что содержит этот краткий обзор:

1. Зачем проводилось это исследование?
2. Когда и где проводилось это исследование?
3. Кто участвовал в исследовании?
4. Какие препараты получали участники?
5. Как проводилось исследование?
6. Какие побочные эффекты отмечались?
7. Какими были результаты исследования?
8. Каким образом это исследование помогло науке?
9. Планируется ли проведение дальнейших исследований?
10. Дополнительная информация

Краткий обзор клинического исследования

Исследование для сравнения содержания в крови пэгаспаргазы (S95014) при использовании обеих лекарственных форм (жидкой и лиофилизированной) при лечении педиатрических пациентов с острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

1 Зачем проводилось это исследование?

Это исследование проводилось для сравнения 2 лекарственных форм лекарственного средства под названием пэгаспаргаза. Одна лекарственная форма прошла сушку холодом (или лиофилизацию) и называется в этом документе «LYO», другая лекарственная форма представляет собой жидкость и называется в этом документе «LIQ». Это лекарственное средство одобрено во многих странах для лечения острого лимфобластного лейкоза (ОЛЛ).

Лейкоз — это онкологическое заболевание крови. При онкологическом заболевании такого типа наблюдается быстрое и неконтролируемое увеличение числа белых клеток крови. ОЛЛ является наиболее часто диагностируемым онкологическим заболеванием у детей. Этот тип лейкоза определяется типом характерных для него незрелых клеток крови.

Исследуемый препарат представляет собой «аспарагиназу», называемую пэгаспаргазой. Аспарагиназы расщепляют вещество в крови под названием аспарагин (один из компонентов, из которых создаются белки). При ОЛЛ злокачественным клеткам для их жизнедеятельности требуется аспарагин. Пэгаспаргаза была модифицирована для снижения риска аллергии и улучшения ее способности оставаться в организме.

Это исследование представляло собой исследование фазы 2. Его основная цель состояла в сравнении активности 2 лекарственных форм пэгаспаргазы посредством измерения «активности аспарагиназы в плазме» крови.

2 Когда и где проводилось это исследование?

Когда проводилось исследование?

- Проведение исследования началось в мае 2021 года.
- Оно закончилось в мае 2022 г.

Где проводилось исследование?

Исследование проводилось в России.

3 Кто участвовал в исследовании?

Какие участники были включены в исследование?

Для участия в исследовании нужно было соответствовать следующим критериям:

- Диагноз ОЛЛ должен был быть поставлен впервые.
- Возраст потенциального участника должен был составлять от 1 года до 18 лет.
- Потенциальный участник должен был находиться в хорошем физическом состоянии.

Сколько человек приняло участие в исследовании?

В исследовании приняли участие 89 детей и подростков (42 девочки и 47 мальчиков).

Сколько лет было участникам?*

Средний возраст участников составил 6 лет. Самому младшему участнику был 1 год, а самому старшему — 17 лет.

* которые получали лечение

4 Какие препараты получали участники?

Каждый участник получил одну дозу пэгаспаргазы (в одной из 2 лекарственных форм, обе формы обозначены одним кодом — S95014) посредством инфузии (вливания) в вену. Инфузия длилась около 1 часа.

Дозу пэгаспаргазы определяли по площади поверхности тела (ППТ). ППТ рассчитывается по росту и массе тела участника. Доза составляла 2500 единиц на квадратный метр ППТ.

Кроме того, все участники получали другие виды лечения, обычно используемые при таком онкологическом заболевании.

5 Как проводилось исследование?

Исследования такого типа называются «рандомизированными». Это означает, что участников случайным образом распределяли в одну из двух групп лечения: группу получения LYO и группу получения LIQ.

Краткий обзор клинического исследования

Исследование для сравнения содержания в крови пэгаспаргазы (S95014) при использовании обеих лекарственных форм (жидкой и лиофилизированной) при лечении педиатрических пациентов с острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

В это исследование было включено 89 участников:

- 43 участника получали лиофилизированную лекарственную форму (LYO).
- 45 участников получали жидкую лекарственную форму (LIQ).
- 1 участник прекратил участие в исследовании еще до получения лечения.

Это исследование называется «открытым». Это означает, что ни сами участники, ни врачи-исследователи не знали, какой именно вариант лечения был назначен каждому из участников.

Пациенты с ОЛЛ получают лечение в течение 3 периодов времени. В этом исследовании основное внимание уделялось только первому периоду лечения. Этот период длился 30 дней. После этого соответствовавшие установленным критериям участники могли присоединиться к другому исследованию (CL2-95014-003), в котором предлагался дальнейший период лечения пэгаспаргазой.

6 Какие побочные эффекты отмечались?

Побочные эффекты — это нежелательные явления медицинского характера, которые, по мнению врачей, могут быть вызваны исследуемыми препаратами.

В этом кратком обзоре мы описываем нежелательные явления медицинского характера, которые предположительно вызывались пэгаспаргазой.

В других документах, связанных с исследованием, результаты могут быть представлены иначе.

В таблице ниже показано число участников с побочными эффектами.

| | Группа LYO (из 43 участников) | Группа LIQ (из 45 участников) |
|---|-------------------------------------|-------------------------------------|
| Участники, у которых отмечались побочные эффекты | 38 (88%) | 41 (91%) |
| Участники, у которых отмечались серьезные* побочные эффекты | 8 (19%) | 4 (9%) |
| Участники, прекратившие лечение из-за побочных эффектов | 0 (0%) | 0 (0%) |

* См. определение серьезных побочных эффектов ниже

Побочные эффекты каких типов отмечались у участников?

В таблице ниже представлены наиболее часто регистрировавшиеся в исследовании побочные эффекты (отмечались по меньшей мере у 20% участников в любой из групп).

Краткий обзор клинического исследования

Исследование для сравнения содержания в крови пэгаспаргазы (S95014) при использовании обеих лекарственных форм (жидкой и лиофилизированной) при лечении педиатрических пациентов с острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

| | Группа LYO (из 43 участников) | Группа LIQ (из 45 участников) |
|---|---|---|
| Снижение уровня белка, называемого фибриногеном (необходим для свертывания крови) | 31  (72%) | 31  (69%) |
| Снижение уровня белка, называемого антитромбином III (необходим для предотвращения свертывания крови) | 31  (72%) | 28  (62%) |
| Снижение числа белых клеток крови, называемых лимфоцитами | 25  (58%) | 18  (40%) |
| Снижение числа белых клеток крови | 15  (35%) | 13  (29%) |
| Недостаток белых клеток крови | 11  (26%) | 5  (11%) |
| Повышение уровня билирубина в крови, что указывает на проблемы с печенью | 11  (26%) | 5  (11%) |
| Снижение в крови уровня белка, называемого протеином S (необходим для предотвращения свертывания крови) | 9  (21%) | 6  (13%) |
| Недостаток тромбоцитов (необходимы для свертывания крови) | 5  (12%) | 10  (22%) |





 = участники

Какие серьезные побочные эффекты отмечались?

Побочный эффект считается серьезным, если:

- участник нуждается в госпитализации;
- такой эффект причиняет долговременный ущерб здоровью или приводит к смерти;
- жизнь участника находится в опасности;
- или же врач считает этот эффект существенным с медицинской точки зрения.

В таблице ниже представлены наиболее часто регистрировавшиеся в исследовании серьезные побочные эффекты, которые предположительно вызывались пэгаспаргазой (отмечались по меньшей мере у 2 участников в любой из групп).

| | Группа LYO (из 43 ) | Группа LIQ (из 45 ) |
|---|--|--|
| Снижение числа белых клеток крови | 3  (7%) | 1  (2%) |
| Снижение уровня белка, называемого антитромбином III (необходим для предотвращения свертывания крови) | 2  (5%) | 1  (2%) |
| Снижение уровня белка, называемого фибриногеном (необходим для свертывания крови) | 2  (5%) | 1  (2%) |
| Внезапное воспаление поджелудочной железы определенного типа | 2  (5%) | 0  (0%) |

На протяжении исследования ни один из его участников не умер из-за побочного эффекта, который предположительно был вызван пэгаспаргазой.

7 Какими были результаты исследования?

Исследование было завершено в соответствии с планом.

Краткий обзор клинического исследования

Исследование для сравнения содержания в крови пэгаспаргазы (S95014) при использовании обеих лекарственных форм (жидкой и лиофилизированной) при лечении педиатрических пациентов с острым лимфобластным лейкозом (ОЛЛ).

В этом документе представлены результаты, относящиеся только к основной цели исследования. Другие результаты представлены в других документах, перечисленных в Разделе 10.

Основная цель исследования состояла в сравнении активности 2 лекарственных форм пэгаспаргазы. Это делалось посредством измерения «активности аспарагиназы в плазме» крови. Результаты показали, что активность (оценивавшаяся по нескольким показателям) была одинаковой в случае с обеими лекарственными формами (LYO и LIQ).

8 Каким образом это исследование помогло науке?

Это исследование показало, что 2 лекарственные формы аспарагиназы (LYO и LIQ) обладают одинаковой активностью. Эта информация важна, поскольку лекарственная форма LYO может храниться на протяжении гораздо более длительного срока. Иными словами, она может храниться в больнице дольше.

9 Планируется ли проведение дальнейших исследований?

Никаких других исследований пэгаспаргазы на данный момент не планируется. Ранее упомянутое исследование CL2-95014-003, в которое включали участников этого исследования, на данный момент уже завершено. По результатам этого исследования будет выпущен отдельный отчет.

10 Дополнительная информация

Какие идентификационные номера присвоены исследованию?

- Код протокола: CL2-95014-002
- Номер в базе данных EudraCT: 2020-004894-29
- Номер NCT в США: 04954326

Кто проводил это исследование?

Компания, которая организовала и профинансировала это научное исследование (также называемая «спонсором»), носит название *Institut de Recherches Internationales Servier* (Институт международных исследований Сервье) и находится в городе Сюрен (Франция).

Как вы можете связаться со спонсором?

Свяжитесь с нами через веб-сайт Servier <https://servier.com/en/>

Где можно узнать больше об этом исследовании?

Более подробную информацию об этом исследовании можно найти на следующих веб-сайтах:

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

Общие сведения о клинических исследованиях можно найти по ссылке

<https://clinicaltrials.servier.com/>