

1. Numărul studiului în UE și titlul complet al studiului

Număr CT UE: 2024-518998-33

Titlul protocolului: Un studiu de fază 3b, multicentric, randomizat, în regim deschis, realizat cu risankizumab în comparație cu vedolizumab în tratamentul subiecților adulți cu colită ulcerativă moderată până la severă, netratați anterior cu terapii țintite

Titlul protocolului în limbaj nespecializat: Un studiu care compară siguranța și eficacitatea risankizumabului cu cele ale vedolizumabului pentru tratamentul pacienților adulți cu colită ulcerativă

2. Argument

Colita ulcerativă (CU) este o boală intestinală de lungă durată care provoacă inflamația intestinului gros. Inflamația face parte din răspunsul organismului de a se proteja împotriva vătămarilor. Când acest lucru se întâmplă în intestinul gros, poate duce la multe simptome diferite, inclusiv nevoia imperioasă de a elimina un scaun sau scaune frecvente, durere abdominală, crampe și diaree. Sunt disponibile tratamente, însă este posibil ca acestea să nu funcționeze la fel pentru toți pacienții sau pot înceta să funcționeze în timp. Risankizumab este un tip de medicament numit inhibitor al IL-23 și acționează prin reducerea activității diferitelor proteine (molecule complexe care efectuează majoritatea acțiunilor în celulele corpului) care controlează inflamația. Risankizumab este aprobat în prezent în Uniunea Europeană, Statele Unite, Japonia și alte țări din întreaga lume pentru tratamentul CU moderate până la severe la adulți. Acest studiu va evalua eficacitatea (cât de bine funcționează medicamentul) și siguranța risankizumabului, comparativ cu vedolizumab, pentru tratamentul pacienților adulți cu CU cărora nu li s-a administrat anterior tratament cu o terapie țintită (TaT; tip de medicament care blochează anumite celule imunitare pentru a ajuta la reducerea sau controlul inflamației).

3. Obiectiv

Obiectivul principal al studiului este de a evalua eficacitatea și siguranța risankizumabului în comparație cu vedolizumab.

4. Criterii finale de evaluare principale ale studiului

Criteriul final de evaluare principal descrie cea mai importantă măsurătoare a rezultatelor care este utilizată pentru a stabili dacă studiul își atinge obiectivul. Pentru acest studiu, criteriul final principal de evaluare este procentul de pacienți la care se obține ameliorarea endoscopică după 48 de săptămâni de tratament. Pentru a determina scorul endoscopic, un tub lung și flexibil cu o cameră video mică este introdus în rect pentru a vedea în interiorul corpului. Scorurile mai mici înseamnă o ameliorare mai mare a simptomelor comparativ cu începutul studiului. Pentru a obține ameliorarea endoscopică, un pacient trebuie să prezinte absența bolii sau boală ușoară.

5. Criterii finale de evaluare secundare

Criteriile finale de evaluare secundare sunt măsurători ale rezultatelor care contribuie la susținerea criteriului final de evaluare principal sau la a evalua dacă tratamentul ajută pacienții. Pentru acest studiu, criteriul final de evaluare secundar este reprezentat de procentul de pacienți la care se obține remisiunea clinică (ameliorarea simptomelor) după 48 de săptămâni de tratament. Remisiune clinică înseamnă că pacientul prezintă puține până la niciun fel de simptome de CU.

6. Designul studiului

Acesta este un studiu de fază 3, randomizat, în regim deschis cu risankizumab comparativ cu vedolizumab la pacienții adulți cu CU. Studiile de fază 3 testează tratamentele la un număr mare de pacienți care suferă de o afecțiune sau o boală. Acest studiu este în regim deschis, ceea ce înseamnă că atât pacienții, cât și medicii de studiu știu ce tratament de studiu li se administrează pacienților. Un program de calculator este utilizat pentru a împărți pacienții în mod aleatoriu (la întâmplare) în 1 din 2 grupuri. Acest proces se numește randomizare; acesta ajută la formarea unor grupuri similare și reduce diferențele dintre grupuri.

7. Populația studiului

Acest studiu va include pacienți cu vârsta cuprinsă între 18 și 80 de ani diagnosticați cu CU activă moderată până la severă, care nu au urmat anterior tratament cu o TaT. Medicul de studiu va discuta despre criteriile de eligibilitate suplimentare.

8. Intervenții

La începutul studiului, pacienții vor fi randomizați pentru a li se administra risankizumab sau vedolizumab. Risankizumabul va fi administrat intravenos (i.v.; medicamentul este administrat direct în fluxul sanguin, de obicei printr-un ac sau cateter) sau subcutanat (s.c.; sub formă de injecție sub piele). Vedolizumabul va fi administrat intravenos.

Pacienților randomizați la risankizumab li se va administra risankizumab i.v. în Ziua 1 și în Săptămânile 4 și 8. Începând cu Săptămâna 12, pacienților li se va administra risankizumab s.c. în doză mare sau risankizumab s.c. în doză mică, o dată la 8 săptămâni până în Săptămâna 44. Doza s.c. care i se administrează unui pacient va fi stabilită în funcție de cât de bine a răspuns pacientul la doza i.v. de risankizumab. Pacienților randomizați la vedolizumab li se va administra aceeași doză i.v. în Ziua 1, Săptămânile 2 și 6 și apoi o dată la 8 săptămâni până în Săptămâna 46. Pacienții vor furniza probe de sânge, urină și scaun, li se va efectua o electrocardiogramă (măsoară semnalele electrice de la nivelul inimii pentru a verifica dacă există diferite afecțiuni cardiace), endoscopie cu biopsii intestinale (prelevarea unor fragmente mici de țesut) și vor completa chestionare despre simptomele CU pe tot parcursul studiului. Unele dintre centrele de studiu vor participa la un studiu de ecografie abdominală. Ecografia este o procedură care utilizează unde sonore pentru a vedea în interiorul corpului.

După vizita finală a studiului, pacienții randomizați la risankizumab pot participa la o extensie continuă a tratamentului și li se poate administra risankizumab până când acesta devine disponibil pe piață și/sau pacientul poate accesa tratamentul la nivel local.

9. Considerente etice referitoare la studiul clinic, inclusiv orice beneficiu preconizat pentru pacientul individual sau grupul de pacienți reprezentat de pacienții de studiu, precum și natura și amploarea poverii și riscurilor.

Principalul risc al tratamentului cu risankizumab este slăbirea sistemului imunitar (o rețea complexă de celule, țesuturi și organe care ajută organismul să lupte împotriva infecțiilor și a altor boli), care poate crește riscul de infecție. Injectarea medicamentelor precum risankizumab poate provoca, de asemenea, reacții cutanate la locul injectării și alte reacții alergice. Aceste reacții alergice pot fi grave sau pot pune viața în pericol. Siguranța pacienților va fi monitorizată îndeaproape în cadrul studiului pentru a reduce riscurile. Acest studiu include, de asemenea, tratamentul cu vedolizumab, iar pacienții trebuie să discute cu medicul de studiu despre posibilele riscuri.

Pacienții pot avea sau nu beneficii medicale directe în urma participării la acest studiu. Simptomele de CU se pot ameliora, se pot agrava sau pot rămâne la fel. Informațiile din acest studiu ar putea ajuta alți pacienți cu CU sau alte boli similare în viitor. Este posibil să existe o responsabilitate mai mare pentru pacienții din acest studiu comparativ cu pacienții care nu participă la un studiu. Pacienții vor efectua vizite regulate la un spital sau la o clinică în timpul studiului. Efectele tratamentului vor fi verificate prin evaluări medicale, analize de sânge, verificarea reacțiilor adverse și completarea chestionarelor.