Forschungsstudie, bei der die Wirkung eines Arzneimittels namens Rituximab mit der Wirkung eines Arzneimittels namens Mycophenolat-Mofetil zur Behandlung einer Krankheit namens Pemphigus vulgaris verglichen wird

Den vollständigen Titel der Studie finden Sie am Ende dieser Zusammenfassung.

Vielen Dank!

Wir bedanken uns bei allen Menschen, die an dieser klinischen Studie (in diesem Dokument „Studie“ genannt) teilgenommen haben. Mit ihrer großzügigen Teilnahme helfen diese Menschen Wissenschaftlern dabei, wichtige Gesundheitsfragen zur Behandlung von Pemphigus vulgaris zu beantworten. Die Studie PEMPHIX wurde durchgeführt, um die Wirkung von Rituximab mit der Wirkung von Mycophenolat-Mofetil (oder „MMF“) auf die Symptome von Pemphigus vulgaris zu vergleichen und auf diese Weise herauszufinden, welches Arzneimittel besser ist.

Wir hoffen, dass diese Zusammenfassung Ihnen dabei hilft, die Ergebnisse dieser Studie zu verstehen. Wenden Sie sich bei Fragen bitte an Ihren Studienarzt.

Über diese Zusammenfassung

Dies ist eine Zusammenfassung der Ergebnisse dieser Studie mit Patienten mit mäßigem bis schwerem Pemphigus vulgaris, die für folgende Personen verfasst wurde:

- Personen, die an dieser Studie teilgenommen haben
- Mitglieder der Öffentlichkeit

Die Studie begann im Mai 2015 und endete im Oktober 2019. Diese Zusammenfassung enthält die Ergebnisse der Studie bis zum November 2018, als alle Patienten die Studienmedikamente bis zu 52 Wochen eingenommen hatten.

Patienten wurden bis zu 48 Wochen nach Absetzen der Studienmedikamente nachbeobachtet. Eine gesonderte Zusammenfassung dieser Ergebnisse wird im Laufe von 2020 zur Verfügung gestellt.

Eine einzelne Studie kann nicht alle Risiken und den umfassenden Nutzen eines Medikaments aufzeigen. Es sind unter Umständen mehr Menschen in mehr als einer Studie erforderlich, um ausreichend Informationen über die genaue Wirkung und die Nebenwirkungen eines Medikaments zu erhalten. Die Ergebnisse dieser Studie können von den Ergebnissen anderer Studien mit dem gleichen Medikament abweichen.

Dies bedeutet, dass Sie einzig auf Grundlage dieser Zusammenfassung keine Entscheidungen treffen sollten. Sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt oder medizinischen Fachpersonal, bevor Sie Entscheidungen über Ihre Behandlung treffen.

Inhalte der Zusammenfassung

1. Allgemeine Informationen zu dieser Studie
2. Wer nahm an dieser Studie teil?
3. Was geschah während der Studie?
4. Was waren die Ergebnisse der Studie?
5. Welche Nebenwirkungen wurden beobachtet?
6. Inwiefern hat diese Studie zur Forschung beigetragen?
7. Gibt es Pläne für weitere Studien?
8. Wo kann ich weitere Informationen erhalten?

Wichtige Informationen zu dieser Studie

- Diese Studie mit dem Namen PEMPHIX wurde durchgeführt, um ein Medikament namens Rituximab mit einem anderen Medikaments namens Mycophenolat-Mofetil (oder „MMF“) bei Patienten mit einer Krankheit namens „Pemphigus vulgaris“ oder auch „PV“ zu vergleichen.
- Im Rahmen dieser Studie erhielten Patienten mit mäßigem bis schwerem PV eine Behandlung mit entweder Rituximab oder MMF. Es wurde nach dem Zufallsprinzip entschieden, welche Behandlung die einzelnen Patienten erhielten.
- An der Studie nahmen 135 Menschen in 10 Ländern teil; 67 Personen wurde Rituximab und 68 Personen MMF verabreicht.
- In einem Studienzentrum in den USA kam bei 10 von 135 Patienten Telemedizin zum Einsatz (Studienarzt und Patienten verwendeten ein iPhone, wodurch es den Patienten ermöglicht wurde, von zu Hause aus an der Studie teilzunehmen). Die Angaben von diesen Patienten wurden in die Sicherheitsergebnisse, jedoch nicht in die Wirksamkeitsergebnisse mit einbezogen.
- Die Studie zeigte, dass nach 52 Wochen 40,3 % der Patienten, denen Rituximab verabreicht wurde, und 9,5 % der Patienten, die MMF einnahmen, keine Symptome ihrer Krankheit aufwiesen und 16 Wochen oder länger keine oralen Steroide einnehmen mussten.
- Die Nebenwirkungen von Rituximab ähnelten denen bei Menschen mit anderen Autoimmunerkrankungen, die mit Rituximab behandelt wurden.
- Patienten wurden bis zu 48 Wochen nach Absetzen der Studienmedikamente nachbeobachtet. Eine gesonderte Zusammenfassung dieser Ergebnisse wird voraussichtlich im Laufe von 2020 zur Verfügung gestellt.

1. Allgemeine Informationen zu dieser Studie

Warum wurde diese Studie durchgeführt?

Pemphigus vulgaris oder auch „PV“ verursacht eine schmerzhafte Blasenbildung der Haut und Schleimhäute in Mund, Nase und Genitalien. PV ist eine sogenannte Autoimmunerkrankung. Bei normaler Gesundheit bildet das Immunsystem des Körpers Eiweiße, sogenannte „Antikörper“, die dabei helfen, Infektionen vorzubeugen oder zu bekämpfen und den Körper gegen Fremdkörper wie Bakterien oder Viren zu schützen. Wenn eine Person an einer Autoimmunerkrankung leidet, bildet das Immunsystem fälschlicherweise Antikörper, die sich gegen körpereigene Bestandteile richten. Bei

Menschen mit PV bildet das Immunsystem Antikörper, die sich gegen die eigene Haut und Schleimhäute richten, was Blasen und Wunden hervorruft.

Patienten mit PV werden üblicherweise Medikamente verabreicht, die die Aktivität des Immunsystems herabsetzen, wie Steroide in Kombination mit oder ohne Mycophenolat-Mofetil (oder „MMF“). Die Symptome von PV treten jedoch häufig während oder nach der Behandlung erneut auf und können schwere Nebenwirkungen haben.

Rituximab in Kombination mit Steroiden hat sich in einer früheren Studie bei der Behandlung von PV als sicherer und wirksamer erwiesen als die alleinige Einnahme von Steroiden. Basierend auf den Ergebnissen dieser Studie wurde Rituximab für die Behandlung von mäßigem bis schwerem PV 2018 in den USA und 2019 in Europa zugelassen.

MMF ist weltweit für die Behandlung anderer Erkrankungen verfügbar, ist jedoch nicht für die Behandlung von PV zugelassen. Steroide können schwere Nebenwirkungen haben. Ärzte verabreichen daher Patienten mit PV häufig MMF zusammen mit Steroiden, damit Patienten geringere Steroiddosen einnehmen können. Die Studie PEMPHIX wurde durchgeführt, um die Wirkung von Rituximab, ob gut oder schlecht, mit der Wirkung von MMF auf die Symptome von PV zu vergleichen und auf diese Weise herauszufinden, welches Arzneimittel besser ist.

Was war das Studienmedikament?

Patienten wurden randomisiert entweder der Behandlung mit Rituximab zur intravenösen Infusion (direkt in den Blutkreislauf verabreicht) oder mit MMF-Tabletten zur oralen Einnahme zugewiesen. Randomisiert zugewiesen bedeutet, dass die Patienten nach dem Zufallsprinzip einer Behandlungsgruppe zugeordnet wurden.

Rituximab vermindert die Anzahl von B-Zellen im Blut und in anderem Gewebe. B-Zellen sind ein Typ weißer Blutkörperchen. Sie sind Bestandteil des Immunsystems und helfen dem Körper bei der Bekämpfung von Infektionen. Bei Menschen mit PV bilden die B-Zellen die Antikörper, die Symptome hervorrufen. Rituximab kann dabei helfen, die Symptome von PV zu verbessern, indem es die Anzahl der B-Zellen verringert, die diese Antikörper bilden.

Rituximab (Rituxan® oder MabThera®) ist ein Medikament, das für die Behandlung folgender Krankheiten zugelassen ist:

- Pemphigus vulgaris (Rituximab war zu Beginn der PEMPHIX-Studie nicht für PV zugelassen)
- Zwei Arten von Autoimmunerkrankungen der Blutgefäße namens Granulomatose mit Polyangiitis und mikroskopische Polyangiitis
- Rheumatoide Arthritis, eine Autoimmunerkrankung der Gelenke
- Eine Blutkrebsart namens Non-Hodgkin-Lymphom
- Eine Blutkrebsart namens chronisch lymphatische Leukämie

MMF ist ein Medikament, das weltweit für Menschen nach Nieren-, Herz- oder Lebertransplantationen zugelassen ist. Es verhindert, dass der Körper das transplantierte Organ abstößt. MMF wurde zudem bei Menschen mit Autoimmunerkrankungen

untersucht; MMF ist jedoch nicht für die Behandlung von PV zugelassen. Mehrere kleinere klinische Studien haben gezeigt, dass MMF Patienten mit PV Nutzen bringen kann, indem es die Antikörperproduktion durch B-Zellen stoppt und es Patienten zudem ermöglicht, geringere Steroiddosen zu nehmen, was wiederum das Risiko von steroidbedingten Nebenwirkungen bei ihnen vermindert.

Patienten, die an PEMPHIX teilnahmen, nahmen zu Beginn ihrer Studienteilnahme Steroide zur Behandlung ihres PV ein. Während der Studie nahmen Patienten weiter Steroide ein und es wurde Rituximab oder MMF hinzugefügt. Wenn sich die Krankheitssymptome besserten, wurde die Steroiddosis schrittweise verringert. Ziel war es, dass die Patienten die Steroide vollständig absetzten.

Weder die Patienten noch die Studienärzte wussten, welche Behandlung der Patient erhielt. Patienten, die Rituximab als intravenöse Infusion erhielten, nahmen auch eine Placebo-Tablette, die äußerlich MMF glich, jedoch keine Wirkstoffe enthielt. Patienten, die MMF erhielten, wurde auch ein Placebo zur intravenösen Infusion verabreicht, das keine Wirkstoffe enthielt.

Was wollten die Wissenschaftler herausfinden?

Die Wissenschaftler führten diese Studie durch, um Rituximab mit MMF zu vergleichen und zu ermitteln, wie wirksam die Medikamente sind und ob Rituximab besser ist als MMF (siehe Abschnitt 4 „Was waren die Ergebnisse der Studie?“).

Sie wollten zudem herausfinden, wie sicher die Studienmedikamente sind, indem sie überprüften, bei wie vielen Menschen während dieser Studie Nebenwirkungen auftraten (siehe Abschnitt 5 „Welche Nebenwirkungen wurden beobachtet?“).

Die zentrale Frage, die Wissenschaftler beantworten wollten, lautete:

1. Wie viele Patienten in jeder Behandlungsgruppe erreichten nach 52 Behandlungswochen eine komplette Remission?

   Eine komplette Remission zu erreichen bedeutete, dass die Haut und Schleimhäute mindestens 16 aufeinanderfolgende Wochen geheilt waren, keine aktive Erkrankung vorlag und der Patient keine Steroide einnahm.

Die Wissenschaftler wollten zudem folgende Fragen beantworten:

2. Wie hoch war die Gesamtmenge von Steroiden, die Patienten in jeder Behandlungsgruppe während den 52 Wochen der Studienbehandlung einnahmen?

3. Wie viele Krankheitsschübe traten insgesamt in jeder Behandlungsgruppe auf?

   Ein Krankheitsschub wurde so definiert, dass innerhalb eines Monats mindestens 3 neue Läsionen auftraten, die nicht innerhalb einer Woche selbstständig abheilten, oder dass bestehende Läsionen bei einem Patienten, dessen Krankheit erfolgreich kontrolliert worden war, größer wurden. Krankheitskontrolle bedeutete, dass keine neuen Läsionen auftraten und bestehende Läsionen abheilten.

4. Wie wirkten sich die Studienmedikamente auf die gesundheitsbezogene Lebensqualität der Menschen aus?

Um welche Art von Studie handelte es sich?

Bei dieser Studie handelte es sich um eine sogenannte **Phase III**-Studie. Das bedeutet, dass Rituximab vor dieser Studie bereits an einer kleineren Anzahl von Menschen mit PV getestet worden war. In dieser Studie erhielt eine größere Anzahl von Menschen mit PV entweder Rituximab oder MMF verabreicht, um herauszufinden, ob Rituximab wirksamer ist als MMF.

Die Studie war „**randomisiert**“. Dies bedeutet, dass per Zufallsprinzip entschieden wurde, welches der Medikamente die einzelnen Studienteilnehmer erhalten - ähnlich wie beim Münzwurf.

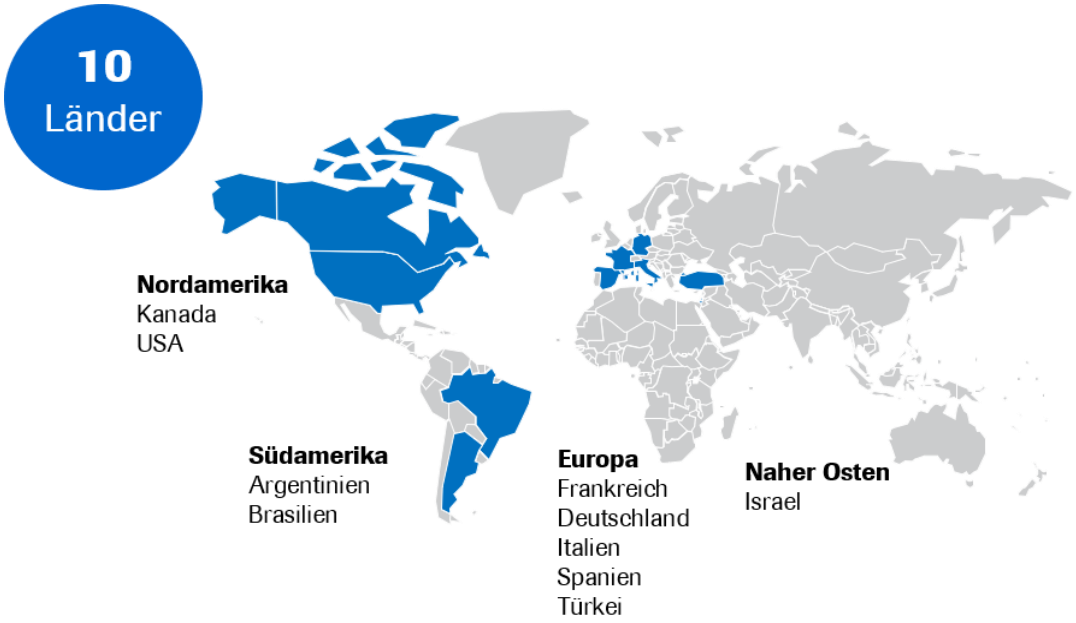
Es handelte sich um eine „**doppelblinde**“ Studie. Das bedeutet, dass sowohl die Menschen, die an dieser Studie teilgenommen haben, als auch die Studienärzte nicht wussten, welches Studienmedikament die einzelnen Personen einnahmen.

Es handelte sich um eine Studie, bei der das „**Double-Dummy**“-Verfahren zum Einsatz kam, das angewendet wird, wenn Medikamente mit unterschiedlicher Darreichungsform miteinander verglichen werden (z. B. eine intravenöse Infusion und eine Tablette). Das bedeutet, dass jeder Studienteilnehmer eines der Studienmedikamente und ein „Placebo“ (oder „Dummy“) erhielt, das genauso aussah, wie das Medikament, jedoch keinen Wirkstoff enthielt.

Wann und wo wurde die Studie durchgeführt?

Die Studie begann im Mai 2015 und endete im Oktober 2019. Diese Zusammenfassung enthält die Ergebnisse bis November 2018 und die vollständigen Ergebnisse aus dem 52-wöchigen Behandlungszeitraum der Studie.

Die Studie wurde in 49 Studienzentren in insgesamt 10 verschiedenen Ländern in Europa, dem Nahen Osten, Nordamerika und Südamerika durchgeführt. Die unten abgebildete Karte zeigt die Länder, in denen die Studie stattfand.



2. Wer nahm an dieser Studie teil?

Es nahmen 135 Patienten mit PV an dieser Studie teil. Zehn der 135 Patienten in einem Studienzentrum in den USA nahmen durch Telemedizin an der Studie teil (Studienarzt und Patienten nutzten ein iPhone, wodurch es den Patienten ermöglicht wurde, von zu Hause aus an der Studie teilzunehmen). Der Studienarzt konnte auf diese Weise mit den Patienten kommunizieren und sie überwachen, was den Patienten die Studienteilnahme erleichterte.

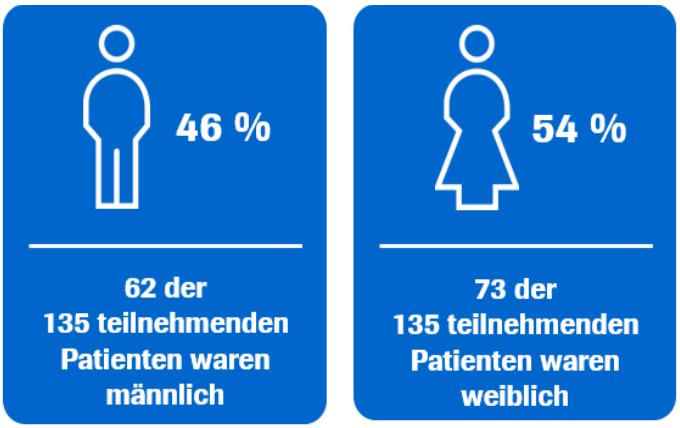
Patienten konnten an der Studie teilnehmen, wenn sie folgende Kriterien erfüllten:

- Diagnose einer PV innerhalb der letzten 24 Monate
- mäßige bis schwere aktive PV
- bisher ausschließliche Einnahme von Steroiden und ein vermuteter Nutzen durch die zusätzliche Einnahme von Rituximab oder MMF

Patienten durften nicht an der Studie teilnehmen, wenn bei ihnen Folgendes vorlag:

- andere Arten von Pemphigus oder blasenbildender Autoimmunerkrankungen, bei denen es sich nicht um PV handelt
- bekannte allergische Reaktion auf Rituximab, MMF oder Steroide
- HIV, Hepatitis B oder Hepatitis C
- eine aktive Infektion jeder Art (außer Nagelpilz)

Hier erhalten Sie weitere Informationen zu den Menschen, die an der Studie teilgenommen haben:



Altersgruppe der teilnehmenden Patienten: 23 bis 75 Jahre alt

3. Was geschah während der Studie?

Die Studienteilnehmer wurden per Zufallsprinzip (durch einen Computer) einer der 2 Behandlungen zugewiesen.

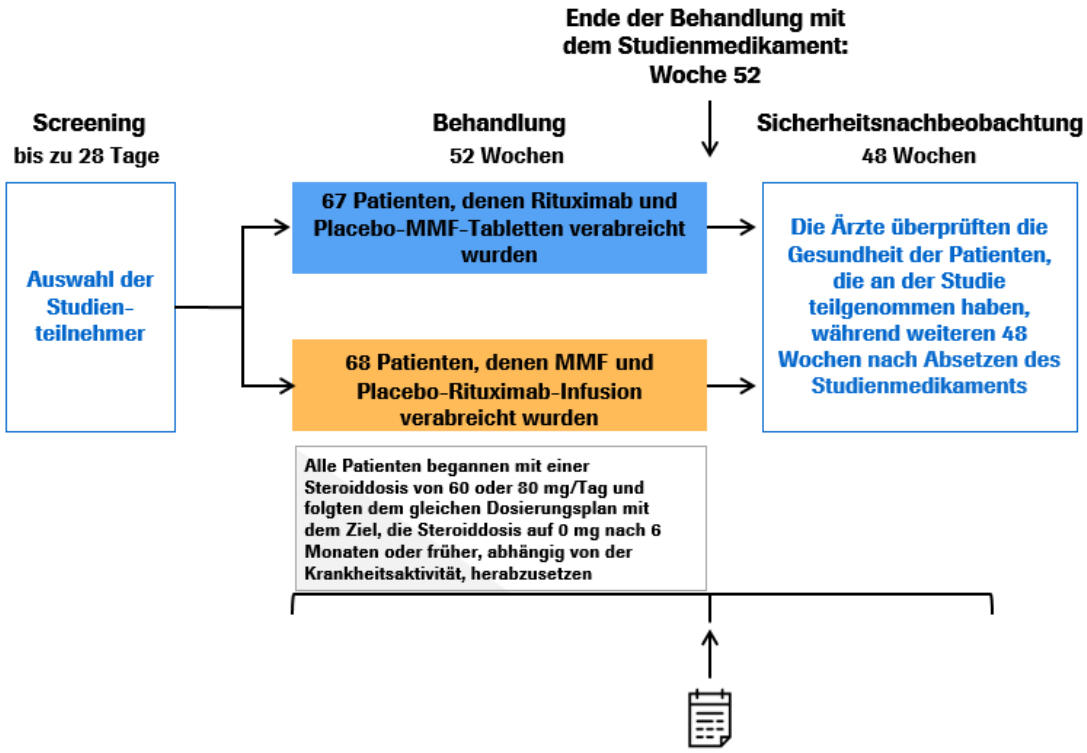
Die 2 Behandlungsgruppen waren:

- **Rituximab** (das Studienmedikament)—verabreicht durch eine intravenöse Infusion an Tag 1 und 15 und erneut in den Wochen 24 und 26. Patienten in dieser Gruppe erhielten zudem eine Placebo-Tablette, die äußerlich MMF glich.

- **MMF** (das Vergleichsmedikament)—zweimal täglich oral einzunehmende Tablette. Patienten in dieser Gruppe erhielten zudem eine Placebo-Infusion, die äußerlich Rituximab glich.

Die Studienteilnehmer nahmen zu Beginn der Studie oral **Steroide** ein. Sie setzten die Einnahme der Steroide fort und es wurde Rituximab oder MMF hinzugefügt. Wenn sich die Krankheitssymptome besserten, wurde die Steroiddosis schrittweise verringert. Ziel war es, dass die Patienten die Steroide bis Woche 24 oder gegebenenfalls früher absetzten.

Die Abbildung unten zeigt, was in der Studie geschah.



Das Symbol auf der Zeitleiste (📋) zeigt an, wann die Informationen in dieser Zusammenfassung erfasst wurden—nachdem alle Patienten die 52-wöchige Behandlungsphase abgeschlossen hatten (November 2018). Patienten wurden zudem bis

zu 48 Wochen nach Absetzen des Studienmedikaments nachbeobachtet (Nachbeobachtungszeitraum). Die Nachbeobachtungsphase endete im Oktober 2019. Eine gesonderte Zusammenfassung der Ergebnisse dieser Sicherheitsnachbeobachtung wird voraussichtlich im Laufe von 2020 zur Verfügung gestellt.

4. Was waren die Ergebnisse der Studie?

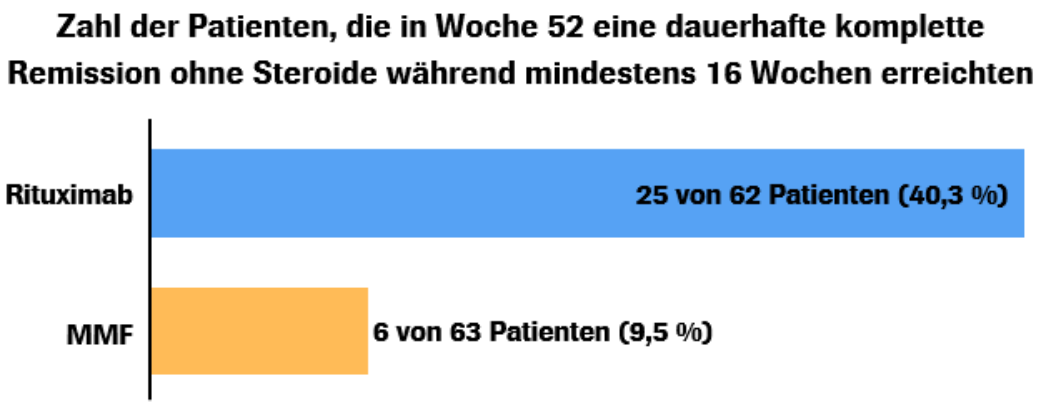
In diesem Abschnitt werden nur die wichtigsten Ergebnisse der Studie während des 52-wöchigen Behandlungszeitraums vorgestellt. Informationen zu allen sonstigen Ergebnissen während des 52-wöchigen Behandlungszeitraums finden Sie auf den Websites am Ende dieser Zusammenfassung (siehe Abschnitt 8).

Die 10 Patienten, deren Teilnahme durch Telemedizin erfolgte (5 in der Rituximab-Gruppe und 5 in der MMF-Gruppe), wurden nicht in die Ergebnisse zur Wirksamkeit von Rituximab und MMF miteinbezogen (den sogenannten Wirksamkeitsergebnissen), da die Ärzte auf Grundlage von Fotos und Videos bestimmten, wie gut die Krankheit auf die Behandlung ansprach. Alle anderen Patienten wurden persönlich von ihren Studienärzten untersucht. Die 10 Telemedizin-Patienten wurden jedoch in die Ergebnisse zu den Nebenwirkungen (Sicherheitsergebnisse) miteinbezogen (siehe Abschnitt 5). Es wurden also die Daten von 125 Patienten für die Wirksamkeitsergebnisse und die Daten von 135 Patienten für die Sicherheitsergebnisse ausgewertet.

Frage 1: Wie viele Patienten in jeder Behandlungsgruppe erreichten nach 52 Behandlungswochen eine komplette Remission?

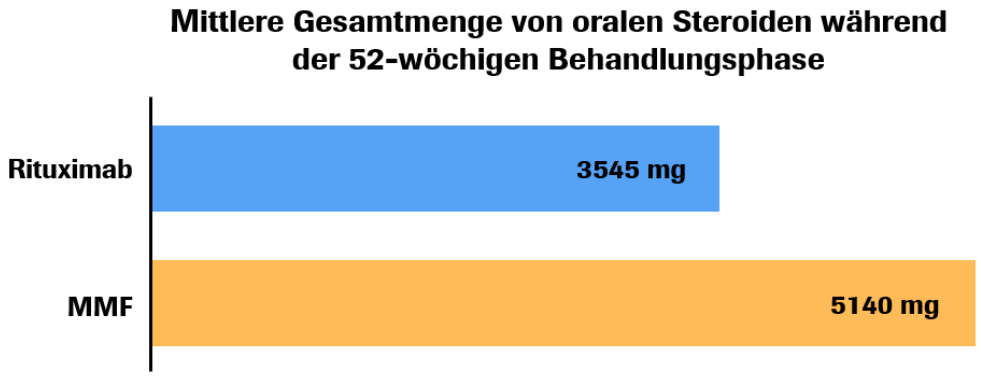
Komplette Remission bedeutete, dass die Haut und Schleimhäute mindestens 16 aufeinanderfolgende Wochen geheilt waren, keine aktive Erkrankung vorlag und der Patient keine Steroide mehr einnahm.

Nach 52 Behandlungswochen hatten 40,3 % der Patienten, denen Rituximab verabreicht wurde, eine dauerhafte komplette Remission ohne Steroide für mindestens 16 Wochen erreicht, im Vergleich zu 9,5 % der Patienten, denen MMF verabreicht wurde. Dieses Ergebnis war statistisch signifikant ($P < 0{,}0001$), was bedeutet, dass Rituximab MMF überlegen war.



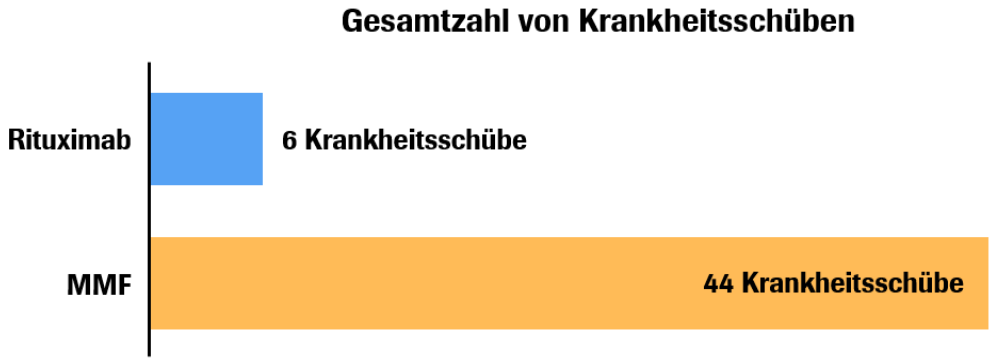
Frage 2: Wie hoch war die Gesamtmenge von Steroiden, die Patienten in jeder Behandlungsgruppe während den 52 Wochen der Studienbehandlung einnahmen?

Patienten in der Rituximab-Gruppe nahmen eine deutlich geringere Gesamtmenge von Steroiden während der 52-wöchigen Behandlungsphase ein als Patienten in der MMF-Gruppe. Durchschnittlich nahmen Patienten, denen Rituximab verabreicht wurde, eine Gesamtmenge von 3545 mg Steroiden zu sich und Patienten, denen MMF verabreicht wurde, eine Gesamtmenge von 5140 mg (P = 0,0005).



Frage 3: Wie viele Krankheitsschübe traten insgesamt in jeder Behandlungsgruppe auf?

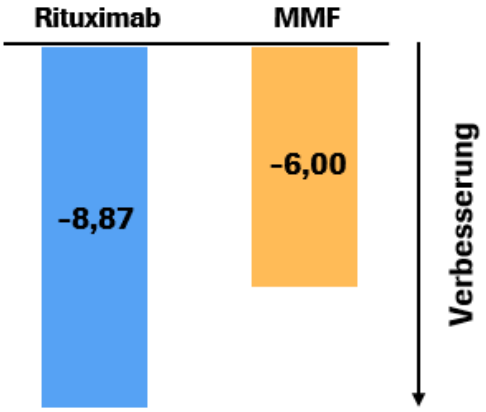
Bei mit Rituximab behandelten Patienten traten deutlich weniger Krankheitsschübe auf als bei mit MMF behandelten Patienten (6 vs. 44; $P < 0{,}0001$).



Frage 4: Wie wirkten sich die Studienmedikamente auf die gesundheitsbezogene Lebensqualität der Menschen aus?

Die Wissenschaftler verwendeten einen Fragebogen, den Dermatologischen Lebensqualitäts-Index (DLQI), um die Lebensqualität der Patienten während der Studie zu bewerten. Bei Patienten, die mit Rituximab behandelt wurden, waren im Vergleich zu Patienten, die mit MMF behandelt wurden, in Woche 52 deutlich größere Verbesserungen bei der gesundheitsbezogenen Lebensqualität festzustellen (*P* = 0,0012).

Veränderung des Dermatology Life Quality Index-Scores von Studienbeginn bis Woche 52



5. Welche Nebenwirkungen wurden beobachtet?

In dieser Studie wurden alle Patienten, die mindestens eine Dosis des Studienmedikaments erhalten hatten, einschließlich der Patienten, deren Studienteilnahme durch Telemedizin erfolgte, auf Nebenwirkungen untersucht.

Es traten nicht bei allen Patienten in dieser Studie Nebenwirkungen auf.

Nebenwirkungen von Rituximab

Häufigste Nebenwirkungen

Nebenwirkungen von Rituximab sind unerwünschte medizinische Ereignisse, die bei mindestens 5 % der mit Rituximab behandelten Patienten auftraten und mit Rituximab in Zusammenhang gebracht wurden.

Die folgenden Nebenwirkungen traten bei mit Rituximab behandelten Patienten während der Behandlungsphase auf (52 Wochen):

Nebenwirkung	**Mit Rituximab behandelte Patienten** (insgesamt 67 Personen)
Infusionsbedingte Reaktionen	22 % (15 von 67)
Kopfschmerzen	15 % (10 von 67)
Infektion von Nase, Rachen und oberen Atemwegen (Infektion der oberen Atemwege)	10 % (7 von 67)
Infektion von Nase und Rachen — auch bekannt als „Erkältung“	9 % (6 von 67)
Mundsoor — Pilzinfektion in Mund oder Rachen	9 % (6 von 67)
Gelenkschmerzen	9 % (6 von 67)
Rückenschmerzen	9 % (6 von 67)
Infektion der Nieren, Blase oder Harnröhre (Harnwegsinfektion oder „HWI“)	8 % (5 von 67)
Müdigkeit	8 % (5 von 67)
Schwindel	6 % (4 von 67)
Schwächegefühl	6 % (4 von 67)

Schwerwiegende Nebenwirkungen

Bei 3 von 15 Patienten, bei denen eine infusionsbedingte Reaktion auftrat, war die Reaktion lebensbedrohlich. Die Patienten erhielten eine geeignete Behandlung und es kam zum Abklingen der Reaktion. Diese Patienten mussten Rituximab jedoch absetzen.

Einer von 7 Patienten, bei denen eine Infektion der oberen Atemwege auftrat, musste im Krankenhaus behandelt werden.

Nebenwirkungen von MMF

Häufigste Nebenwirkungen

Die Nebenwirkungen von MMF sind unerwünschte medizinische Ereignisse, die der Studienarzt in einen Zusammenhang mit MMF brachte.

Die am häufigsten berichteten Nebenwirkungen von MMF waren Infektionen von Nase, Rachen, oberen Atemwegen, Harnwegen und Magen oder Darm. Diese Infektionen traten bei 11 von 68 Patienten auf (16,2 % der Patienten). Bei den Nebenwirkungen, die am zweithäufigsten berichtet wurden, handelte es sich um allgemeine Magen-Darm-Beschwerden wie weicher Stuhl, Schmerzen im Unterbauch (zwischen Brust- und Beckenbereich), Übelkeit (Brechreiz) und Verstopfung. Diese Magen-Darm-Beschwerden traten bei 9 von 68 Patienten auf (13,2 % der Patienten).

Schwerwiegende Nebenwirkungen

Fünf Patienten mit medizinischen Ereignissen, die in Zusammenhang mit MMF gebracht wurden, mussten sich zur Behandlung ins Krankenhaus begeben.

3 dieser 5 Patienten hatten Infektionen: 1 Patient hatte eine Lungeninfektion und Grippe, 1 Patient hatte Gürtelrose und bei einem Patienten verschlimmerte sich seine chronische Lungenerkrankung, bei der der Luftstrom aus den Lungen blockiert ist. Von den anderen 2 Patienten, die in einem Krankenhaus behandelt wurden, wies 1 ein Hautgeschwür auf und der andere konnte keinen Harn ablassen.

6. Inwiefern hat diese Studie zur Forschung beigetragen?

Die hier vorgestellten Daten stammen aus einer einzelnen Studie mit Patienten mit mäßigem bis schwerem PV. Diese Ergebnisse haben Wissenschaftlern dabei geholfen, mehr darüber zu erfahren, wie wirksam und sicher Rituximab bei der Behandlung von Patienten mit mäßigem bis schwerem PV im Vergleich zu MMF ist.

Insgesamt zeigte diese Studie, dass Rituximab wirksamer als MMF war. Es erreichten insgesamt 40,3 % der Patienten, die mit Rituximab behandelt wurden, eine dauerhafte komplette Remission ohne Steroide (Haut und Schleimhäute waren geheilt und es lag ohne Steroide keine aktive Erkrankung für mindestens 16 aufeinanderfolgende Wochen vor) im Vergleich zu 9,5 % der Patienten, die mit MMF behandelt wurden. Patienten, die mit Rituximab behandelt wurden, nahmen eine geringere Gesamtmenge von Steroiden zu sich, wiesen eine geringere Wahrscheinlichkeit für Krankheitsschübe auf und erreichten durch die Behandlung eine größere Verbesserung ihrer Lebensqualität als Patienten, die

mit MMF behandelt wurden. Die Nebenwirkungen von Rituximab bei Patienten mit PV ähnelten denen, die bei Patienten beobachtet wurden, die Rituximab zur Behandlung anderer Autoimmunerkrankungen wie rheumatoide Arthritis, Granulomatose mit Polyangiitis und mikroskopische Polyangiitis erhielten.

Eine einzelne Studie kann nicht alle Risiken und den umfassenden Nutzen eines Medikaments aufzeigen. Es kann mehr Menschen in mehr als einer Studie erfordern, um ausreichend Informationen zur Wirkung und den Nebenwirkungen eines Medikaments zu sammeln. Die Ergebnisse dieser Studie können von den Ergebnissen anderer Studien mit dem gleichen Medikament abweichen.

- Das bedeutet, dass Sie einzig auf Grundlage dieser einen Zusammenfassung keine Entscheidung treffen sollten—sprechen Sie immer mit Ihrem Arzt, bevor Sie Entscheidungen über Ihre Behandlung treffen.

7. Gibt es Pläne für weitere Studien?

In Frankreich untersucht eine laufende Forschungsstudie unter Leitung der französischen Autoimmune Bullous Diseases Study Group die Wirksamkeit und Sicherheit von Rituximab bei Patienten mit Schleimhautpemphigoid.

Zum Zeitpunkt der Erstellung dieser Zusammenfassung plante Roche keine weiteren Studien, die sich mit Rituximab bei PV beschäftigen.

8. Wo kann ich weitere Informationen erhalten?

Weitere Informationen zu dieser Studie erhalten Sie auf den folgenden Websites:

- https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02383589
- https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2014-000382-41
- https://klinische-studien-fuer-patienten.de/

An wen kann ich mich bei Fragen zu dieser Studie wenden?

Sollten Sie nach Lesen dieser Zusammenfassung weitere Fragen haben:

- Besuchen Sie die Website speziell für Patienten: https://klinische-studien-fuer-patienten.de/
- Bei weiteren Fragen zu Roche Medikamenten, wenden Sie sich auch gerne an unsere Medical Information. Per Telefon unter 07624-142015 oder per Mail an grenzach.medical_information@roche.de
- Wenden Sie sich an einen Vertreter Ihrer zuständigen Roche-Niederlassung.

Wenn Sie an dieser Studie teilgenommen haben und Fragen zu den Ergebnissen der Studienbehandlung haben, die Sie erhalten haben:

- Sprechen Sie mit dem Studienarzt oder -personal an dem Krankenhaus oder der Klinik, in dem/der die Studie durchgeführt wurde.

Wenn Sie Fragen zu Ihrer eigenen PV-Behandlung haben:

- Sprechen Sie mit Ihrem behandelnden Arzt.

Wer hat diese Studie organisiert und finanziert?

Diese Studie wurde von F. Hoffmann-La Roche Ltd mit Sitz in Basel, Schweiz, organisiert und finanziert.

Vollständiger Titel der Studie und sonstige Angaben zur Identifizierung

Der vollständige Titel der Studie lautet:

Eine randomisierte, doppelblinde, multizentrische Double-Dummy-Studie mit Vergleichskontrolle zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von Rituximab im Vergleich zu MMF bei Patienten mit Pemphigus vulgaris.

Diese Studie ist unter dem Namen „PEMPHIX“ bekannt.

Die Prüfplannummer der Studie lautet: WA29330.

Der ClinicalTrials.gov-Identifikator für diese Studie ist: NCT02383589.

Die EudraCT-Nummer dieser Studie lautet: 2014-000382-41.