

מחקר להשוואת ההשפעה של תרופה בשם ריטוקסימאב עם ההשפעה של תרופה בשם מיקופנולט מופטיל על הטיפול בבעיה רפואית בשם פמפיגוס וולגריס

בסוף התקציר מופיע שמו המלא של המחקר.

תודה!

תודה לכל אלה שהשתתפו בניסוי הקליני הזה (שבמסמך זה ייקרא "המחקר"). השתתפותם הנדיבה של אנשים אלה עוזרת לחוקרים לענות על שאלות בריאותיות חשובות על הטיפול בפמפיגוס וולגריס. מחקר זה, הקרוי PEMPHIX, נועד להשוות את ההשפעה של ריטוקסימאב עם ההשפעה של מיקופנולט מופטיל (MMF) על התסמינים של פמפיגוס וולגריס, כדי לגלות איזו מהתרופות הללו טובה יותר.

אנו מקווים שהתקציר הזה יסייע לכם להבין את תוצאות המחקר. אם יש לכם שאלות על התוצאות הללו, שוחחו על כך עם רופא המחקר.

אודות התקציר הזה

תוכן התקציר	זה תקציר של תוצאות המחקר על מטופלים עם פמפיגוס וולגריס בינונית עד חמורה, והוא נכתב עבור:
1. מידע כללי על המחקר	<ul style="list-style-type: none"> אלה שהשתתפו במחקר הציבור הרחב
2. מי השתתף במחקר?	
3. מה קרה במהלך המחקר?	
4. מהן תוצאות המחקר?	המחקר החל במאי 2015 והסתיים באוקטובר 2019. תקציר זה מכיל את תוצאות המחקר עד נובמבר 2018 – עד לתאריך זה נטלו כל המטופלים את תרופות המחקר במשך עד 52 שבועות.
5. מה היו תופעות הלוואי?	המטופלים המשיכו להיות במעקב עד 48 שבועות לאחר שהפסיקו ליטול את תרופות המחקר. תקציר נוסף של התוצאות האלו יתפרסם מתישהו ב-2020.
6. איך סייע הניסוי הזה למחקר הרפואי?	
7. האם יש תוכניות למחקרים נוספים?	
8. היכן ניתן למצוא מידע נוסף?	מחקר בודד אינו מסוגל לתת לנו את כל המידע על הסיכונים והתועלת של תרופה כלשהי. צריך יותר אנשים ביותר ממחקר אחד כדי לתת לנו פרטים על אופן פעולת התרופה ועל תופעות הלוואי שלה. תוצאות מחקר זה יהיו שונות מתוצאות מחקרים אחרים על אותה תרופה.

המשמעות היא שאסור לכם לקבל החלטות על סמך התקציר הזה בלבד. שוחחו תמיד עם הרופא שלכם לפני שתקבלו החלטות בנוגע לטיפול בכם.

מידע עיקרי על המחקר

- מחקר זה, הקרוי PEMPHIX, נועד להשוות את ההשפעה של תרופה בשם ריטוקסימאב עם ההשפעה של תרופה אחרת בשם מיקופנולט מופטיל (MMF) על אלה שיש להם בעיה רפואית בשם פמפיגוס וולגריס (PV).
- במחקר זה, אנשים עם PV בינונית עד חמורה קיבלו ריטוקסימאב או MMF. ההחלטה איזו תרופה יקבל כל משתתף התקבלה באופן אקראי.
- המחקר כלל 135 בני אדם ב-10 מדינות: 67 מהם קיבלו ריטוקסימאב ו-68 קיבלו MMF.
- באחד ממרכזי המחקר בארה"ב, 10 מתוך 135 המטופלים במחקר השתתפו בו בעזרת טכנולוגיה של 'רפואה מרחוק' (רופא המחקר והמטופלים השתמשו ב-iPhone כדי שהמטופלים יוכלו להשתתף במחקר מבתיהם). המידע שמקורו במטופלים אלה תרם לתוצאות בנושא הבטיחות, אך לא בנושא היעילות.
- המחקר הראה שלאחר 52 שבועות, ל-40.3% מאלה שנטלו ריטוקסימאב ול-9.5% מאלה שנטלו MMF לא היו תסמינים של המחלה שלהם, והם לא היו צריכים ליטול סטרואידים דרך הפה במשך 16 שבועות ומעלה.
- תופעות הלוואי של ריטוקסימאב היו דומות לאלו שנצפו אצל אנשים עם מחלות אוטואימוניות אחרות שגם הם טופלו בריטוקסימאב.
- המטופלים המשיכו להיות במעקב עד 48 שבועות לאחר שהפסיקו ליטול את תרופות המחקר. תקציר של התוצאות האלו צפוי להתפרסם מתישהו ב-2020.

1. מידע כללי על המחקר

מדוע התקיים המחקר הזה?

פמפיגוס וולגריס, או PV, גורמת להיווצרות אבעבועות כואבות על העור ולהופעת קרומים ריריים המצפים את תוך הפה, האף ואברי המין. PV היא מחלה מהסוג הקרוי אוטואימונית. אצל אנשים בריאים, מערכת החיסון של הגוף יוצרת חלבונים הקרויים "נוגדנים" שעוזרים למנוע זיהומים ולהגן על הגוף מפני חומרים זרים כגון חיידקים ונגיפים. כאשר יש למישהו מחלה אוטואימונית, מערכת החיסון יוצרת בטעות נוגדנים הפועלים נגד חלקים מגופו של אותו אדם. אצל אלה שיש להם PV, מערכת החיסון יוצרת נוגדנים נגד העור והקרומים הריריים שלהם, דבר שגורם לאבעבועות ולפצעים.

לאנשים עם PV ניתנות בדרך כלל תרופות שמפחיתות את פעילות מערכת החיסון, כגון סטרואידים עם או בלי מיקופנולט מופטיל (או MMF). אך התסמינים של PV חוזרים לעיתים קרובות במהלך הטיפול בתרופות אלו או אחריו, ויכולות להיות להן תופעות לוואי חמורות.

בניסוי קליני קודם הוכח שריטוקסימאב יחד עם סטרואידים הם בטוחים יותר ויעילים יותר לצורך הטיפול ב-PV מאשר סטרואידים לבדם. בהתבסס על תוצאות אותו ניסוי, ריטוקסימאב אושרה לטיפול ב-PV בינונית עד חמורה – בארצות הברית ב-2018, ובאירופה ב-2019.

MMF זמינה ברחבי העולם לטיפול במחלות אחרות, אך אין לה אישור לטיפול ב-PV. לסטרואידים יכולות להיות תופעות לוואי חמורות, ולכן רופאים נותנים לעיתים קרובות לחולי PV את MMF בשילוב עם סטרואידים, זאת כדי שיוכלו לקחת מנות קטנות יותר של סטרואידים. מחקר זה, הקרוי PEMPHIX, נועד להשוות את ההשפעות, הטובות או הרעות, של ריטוקסימאב עם ההשפעות של MMF על התסמינים של PV, כדי לגלות איזו מהתרופות הללו טובה יותר.

מה הייתה תרופת המחקר?

למטופלים הוקצה באופן אקראי אחד משני הטיפולים הבאים – ריטוקסימאב בעירוני תוך-וריד (ישירות לזרם הדם), או גלולות MMF דרך הפה. המשמעות של הקצאה אקראית היא שהמטופלים הוקצו לקבוצות הטיפול על פי המזל העיוור.

ריטוקסימאב פועלת על ידי הפחתת מספר תאי B בדם וברקמות אחרות. תאי B הם אחד הסוגים של תאי הדם הלבנים המהווים חלק ממערכת החיסון והעוזרים לגוף להילחם בזיהומים. אצל אנשים עם PV, תאי B יוצרים את הנוגדנים הגורמים לתסמיני המחלה. ריטוקסימאב עשויה לסייע בשיפור התסמינים של PV על ידי הפחתת מספר תאי B שיוצרים את הנוגדנים האלה.

ריטוקסימאב (Rituxan® או MabThera®) היא תרופה שאושרה לטיפול:

- בפמפיגוס וולגריס (ריטוקסימאב עדיין לא אושרה לטיפול ב-PV כאשר מחקר PEMPPIX רק החל)
- שני סוגים של מחלה אוטואימונית של כלי הדם: גרנולומטוזיס עם פוליאנגיטיס, ופוליאנגיטיס מיקרוסקופית
- דלקת מפרקים שיגרונית, מחלה אוטואימונית של המפרקים
- סוג של סרטן דם בשם לימפומה שאינה הודג'קין
- סוג של סרטן דם בשם לוקמיה לימפוציטית כרונית

MMF היא תרופה שאושרה ברחבי העולם לשימוש אצל אנשים שעברו השתלה של כליות, לב או כבד כדי למנוע מהגוף לדחות את האבר המושתל. MMF גם נחקרה אצל אנשים עם מחלות אוטואימוניות; אך אין לה אישור לטיפול ב-PV. מספר מחקרים קליניים הראו ש-MMF עשויה להועיל למטופלים עם PV בכך שהיא תמנע מתאי B ליצור נוגדנים. כך היא תאפשר למטופלים ליטול כמויות קטנות יותר של סטרואידים ועל ידי כך להפחית פוטנציאלית את הסיכון שלהם להיפגע מתופעות לוואי הקשורות לסטרואידים.

משתתפי מחקר PEMPPIX נהגו ליטול סטרואידים כדי לטפל ב-PV שלהם במועד תחילת השתתפותם במחקר. במהלך המחקר המשיכו המטופלים ליטול את הסטרואידים, ולכך נוספו ריטוקסימאב או MMF. כאשר תסמיני המחלה השתפרו, הופחת בהדרגה מינון הסטרואידים. המטרה הייתה שהמטופלים יפסיקו ליטול סטרואידים.

המטופלים ורופאי המחקר לא ידעו איזה טיפול קיבל כל מטופל. המטופלים שהוקצו לקבל עירוני תוך-וריד של ריטוקסימאב נטלו גם גלולת פלצבו שנראתה בדיוק כמו MMF, אך לא הכילה שום תרופה. המטופלים שהוקצו לקבל MMF קיבלו גם עירוני תוך-וריד של פלצבו שלא הכיל שום תרופה.

מה רצו החוקרים לגלות?

החוקרים ערכו מחקר זה כדי להשוות בין ריטוקסימאב ל-MMF במטרה לראות את אופן הפעולה של שתי התרופות, ולבדוק אם ריטוקסימאב טוב יותר מ-MMF (ראו פרק 4 'מה היו תוצאות המחקר?').

הם גם רצו לגלות את מידת בטיחותן של תרופות המחקר, זאת בכך שבדקו לכמה אנשים היו תופעות לוואי במהלך המחקר (ראו פרק 5 'מה היו תופעות הלוואי?').

השאלה המרכזית שעליה רצו החוקרים לענות הייתה:

1. לאחר 52 שבועות טיפול, כמה אנשים בכל קבוצת טיפול היו בהפוגה מלאה?

המשמעות של "הפוגה מלאה" היא שבמשך 16 שבועות רצופים או יותר, העור והקרומים הריריים נרפאו ללא עקבות של מחלה פעילה, והמטופל לא נטל סטרואידים.

שאלות אחרות שעליהן רצו החוקרים לענות כללו:
2. מה הייתה הכמות הכוללת של סטרואידים שנטלו מטופלים בשתי קבוצות הטיפול במהלך 52 שבועות מתן טיפול המחקר?

3. מה היה המספר הכולל של התלקחות המחלה בכל קבוצת טיפול?
"התלקחות" הוגדרה כ-3 או יותר נגעים חדשים בחודש שלא נרפאו מעצמם תוך שבוע אחד; או כנגעים קיימים שגדלו אצל מטופל שמחלתו אוזנה. המשמעות של מחלה מאוזנת היא אי הופעתם של נגעים חדשים ותחילת ריפוי של נגעים קיימים.

4. איך השפיעו תרופות המחקר על איכות החיים של המטופלים מבחינה בריאותית?

איזה סוג מחקר היה זה?

המחקר היה מחקר 'שלב 3'. המשמעות היא שריטוקסימאב נבדק על מספר קטן של אנשים עם PV לפני מחקר זה. במחקר זה היו מעורבים מספר גדול יותר של אנשים עם PV שקיבלו ריטוקסימאב או MMF כדי לגלות אם ריטוקסימאב עובד טוב יותר מ-MMF.

המחקר היה 'אקראי'. המשמעות היא שהגורל העיוור קבע איזו משתי התרופות יקבלו המשתתפים במחקר – בדומה להטלת מטבע.

זה היה מחקר 'בסמיות כפולה'. המשמעות היא שמשתתפי המחקר ורופאי המחקר לא ידעו איזו תרופה נטל כל מטופל.

זה היה מחקר 'כפול-דמה', שמשמש להשוואת תרופות שונות (לדוגמה, עירוי תוך-ורידי וגלולה). המשמעות היא שכל משתתף במחקר קיבל את אחת מתרופות המחקר וכן 'פלצבו' (או 'תרופת דמה') שנראתה זהה לתרופת המחקר, אבל לא הכילה שום תרופה אמיתית.

מתי והיכן התקיים המחקר?

המחקר החל במאי 2015 והסתיים באוקטובר 2019. תקציר זה מכיל את תוצאות המחקר עד נובמבר 2018 ואת התוצאות המלאות של תקופת הטיפול בת 52 שבועות של המחקר.

המחקר התקיים ב-49 מרכזי מחקר ב-10 מדינות באירופה, במזרח התיכון, בצפון אמריקה ובדרום אמריקה. המפה הבאה מציגה את המדינות שבהן התקיים המחקר.

10
מדינות



2. מי השתתף במחקר?

במחקר זה השתתפו 135 מטופלים עם PV. באחד ממרכזי המחקר בארה"ב, 10 מתוך 135 המטופלים במחקר השתתפו בו בעזרת טכנולוגיה של 'רפואה מרחוק' (רופא המחקר והמטופלים השתמשו ב-iPhone כדי שהמטופלים יוכלו להשתתף במחקר מבתיהם). כך יכל רופא המחקר לתקשר עם המטופל ולנטר את מצבו, זאת כדי להקל על המטופל להשתתף במחקר.

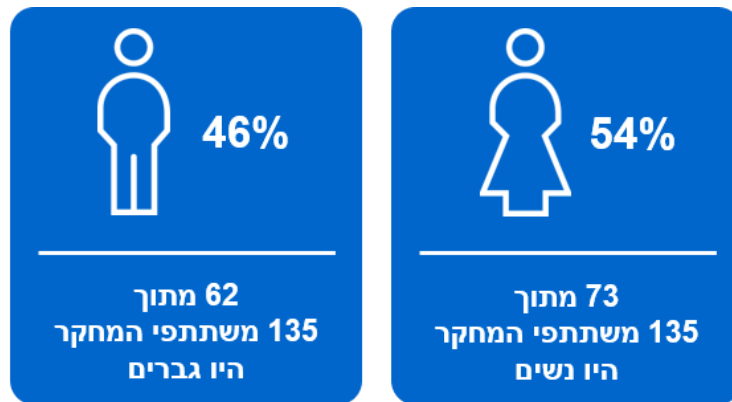
אנשים יכלו להשתתף במחקר אם:

- היה להם אבחון של PV במהלך 24 החודשים האחרונים
- הייתה להם PV פעילה בינונית עד חמורה
- הם נטלו סטרואידים בלבד והציפייה הייתה שהוספת ריטוקסימאב או MMF תועיל להם

מטופלים לא יכלו להשתתף במחקר אם היו להם:

- סוגים אחרים של פמפיגוס או מחלה בועית אוטואימונית שלא הייתה PV
- תגובה אלרגית ידועה לריטוקסימאב, ל-MMF או לסטרואידים
- HIV, הפטיטיס B או הפטיטיס C
- זיהום פעיל מכל סוג שהוא (למעט פטרת בציפורניים)

הנה פרטים נוספים על המשתתפים במחקר:



טווח הגילאים של משתתפי המחקר: 23 עד 75

3. מה קרה במהלך המחקר?

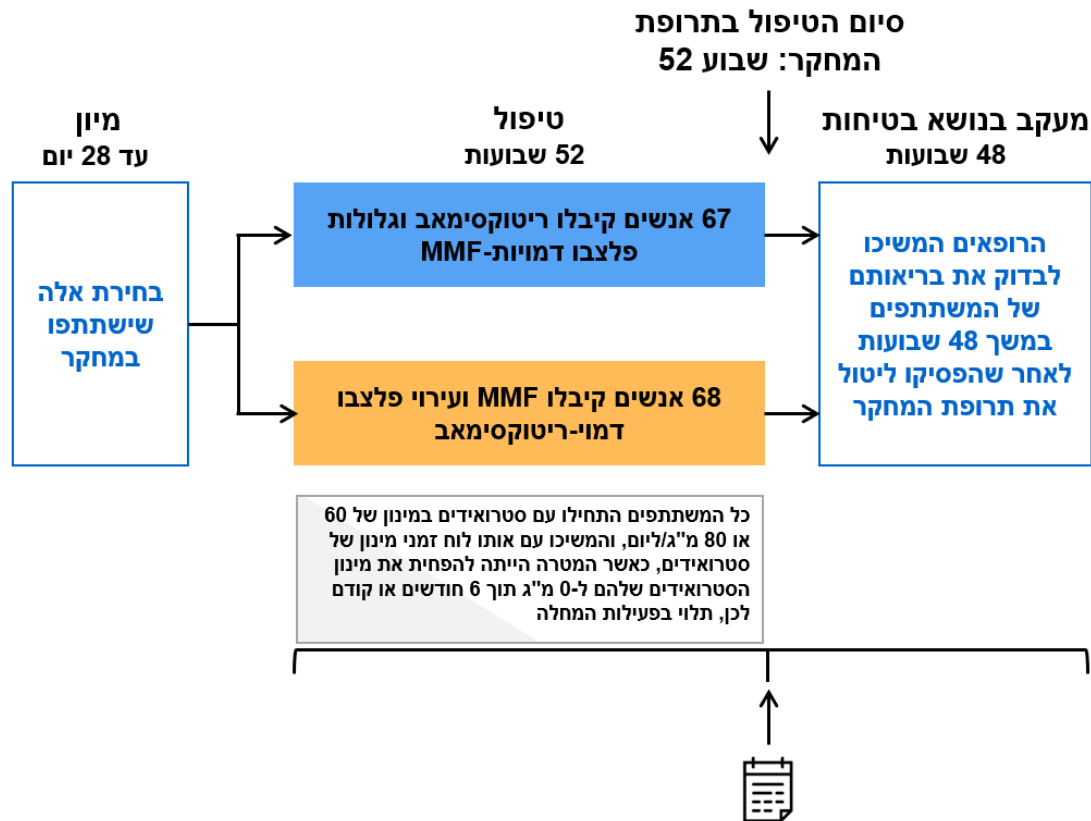
המשתתפים במחקר נבחרו באופן אקראי (על ידי מחשב) לקבל אחד מתוך שני סוגי הטיפולים.

2 קבוצות הטיפול היו:

- **ריטוקסימאב** (תרופת המחקר) – ניתנת בצורת עירוי תוך-ורידי בימים 1 ו-15, ושוב בשבועות 24 ו-26. המטופלים בקבוצה זו גם קיבלו גלולת פלצבו שנראתה בדיוק כמו MMF.
- **MMF** (התרופה להשוואה) – גלולה הניטלת דרך הפה פעמיים ביום. המטופלים בקבוצה זו גם קיבלו עירוי פלצבו שנראה בדיוק כמו ריטוקסימאב.

משתתפי המחקר נהגו ליטול סטרואידים דרך הפה לפני שהחלו להשתתף במחקר. הם המשיכו ליטול את הסטרואידים, ולכך נוספו ריטוקסימאב או MMF. כאשר תסמיני המחלה השתפרו, הופחת בהדרגה מינון הסטרואידים. המטרה הייתה שהמטופלים יפסיקו ליטול סטרואידים עד שבוע 24 של המחקר, או מוקדם יותר, אם רלוונטי.

בתמונה הבאה ניתן לראות מה התרחש במהלך המחקר.



הסמל שעל ציר הזמן (📅) מציג מתי נאסף המידע בתקציר הנוכחי – לאחר שכל המטופלים השלימו את תקופת הטיפול בת 52 שבועות (בנובמבר 2018). המטופלים גם המשיכו להיות במעקב עד 48 שבועות לאחר שהפסיקו ליטול את תרופות המחקר (תקופת המעקב לצורכי בטיחות). תקופת המעקב לצורכי בטיחות של המחקר הסתיימה באוקטובר 2019. תקציר נפרד ובו ממצאי תקופת המעקב בנושא בטיחות צפוי להתפרסם מתישהו ב-2020.

4. מהן תוצאות המחקר?

בפרק זה יוצגו רק התוצאות העיקריות של המחקר מתוך תקופת הטיפול בת 52 שבועות. את המידע אודות כל התוצאות האחרות של תקופת הטיפול בת 52 שבועות ניתן למצוא באתרים המוצגים בסוף תקציר זה (ראה פרק 8).

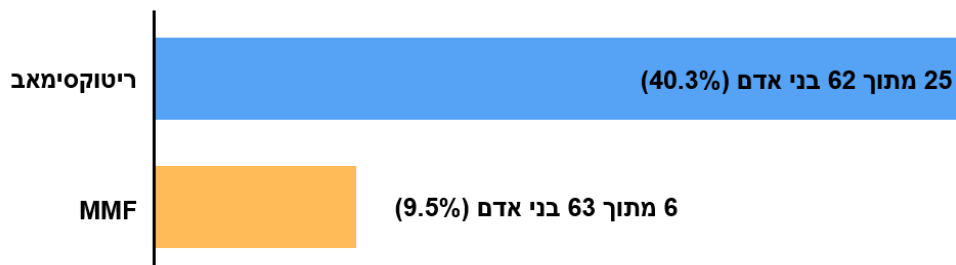
10 המטופלים שהשתתפו במחקר במסגרת שירות הרפואה מרחוק (5 בקבוצת הריטוקסימאב ו-5 בקבוצת ה-MMF) אינם נכללים בתוצאות המציגות את יעילות פעולתן של ריטוקסימאב ושל MMF (תוצאות היעילות), כי הרופאים השתמשו בתצלומים ובסרטונים כדי לקבוע איך המחלה הגיבה לטיפול. כל שאר המטופלים עבדו בדיקה גופנית על ידי רופאי המחקר שלהם. אך 10 המטופלים האלה תרמו לתוצאות בנושא תופעות לוואי (ראה פרק 5). לפיכך, ניתחנו את הנתונים של 125 מטופלים עבור תוצאות היעילות; ושל 135 מטופלים – עבור תוצאות הבטיחות.

שאלה 1: לאחר 52 שבועות טיפול, כמה אנשים בכל קבוצת טיפול היו בהפוגה מלאה?

המשמעות של "הפוגה מלאה" היא שבמשך 16 שבועות רצופים או יותר העור והקרומים הריריים נרפאו ללא עקבות של מחלה פעילה, בזמן שהמטופל לא נטל סטרואידים.

לאחר 52 שבועות טיפול, 40.3% מאלה שקיבלו ריטוקסימאב הגיעו להפוגה מלאה ממושכת ללא סטרואידים במשך לפחות 16 שבועות, זאת בהשוואה ל-9.5% מאלה שקיבלו MMF. לתוצאה זו יש מובהקות סטטיסטית ($P < 0.0001$), כלומר, ריטוקסימאב היה טוב יותר מ-MMF.

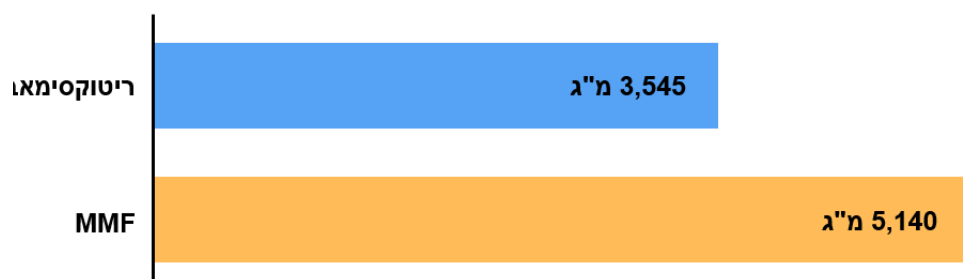
מספר המטופלים שהגיעו להפוגה מלאה ממושכת ללא סטרואידים במשך לפחות 16 שבועות בשבוע 52



שאלה 2: מה הייתה הכמות הכוללת של סטרואידיים שנטלו מטופלים בשתי קבוצות הטיפול במהלך 52 שבועות מתן טיפול המחקר?

המטופלים בקבוצת הריטוקסימאב נטלו כמות כוללת קטנה משמעותית של סטרואידיים דרך הפה במהלך תקופת הטיפול בת 52 שבועות מאשר המטופלים בקבוצת ה-MMF. בממוצע, אלה שקיבלו ריטוקסימאב נטלו בסך הכול 3545 מ"ג של סטרואידיים; בעוד אלה שקיבלו MMF נטלו בסך הכול 5140 מ"ג ($P < 0.0005$).

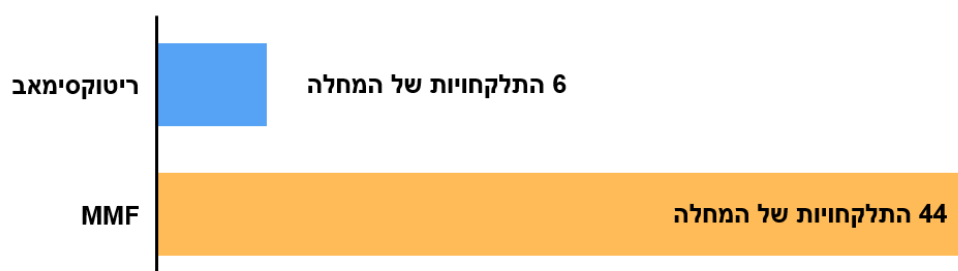
סך כמות הסטרואידיים הממוצעת דרך הפה במהלך תקופת הטיפול בת 52 שבועות



שאלה 3: מה היה המספר הכולל של התלקחות המחלה בכל קבוצת טיפול?

לאלה שטופלו בריטוקסימאב היה מספר נמוך משמעותית של התלקחות מאשר לאלה שטופלו ב-MMF (6 לעומת 44; $P < 0.0001$).

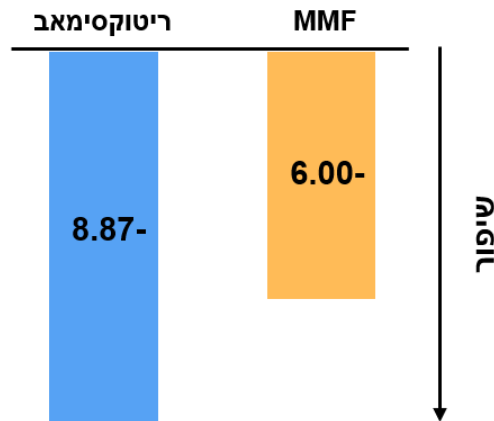
סך התלקחות המחלה



שאלה 4: איך השפיעו תרופות המחקר על איכות החיים של המטופלים מבחינה בריאותית?

החוקרים השתמשו בשאלון בשם 'מדד איכות החיים מבחינה דרמטולוגית' כדי למדוד את איכות החיים של המטופלים במהלך המחקר. המטופלים בריטוקסימאב נהנו משיפורים גדולים במידה משמעותית באיכות החיים מבחינה בריאותית בשבוע 52 מאשר אלה שטופלו ב-MMF ($P = 0.0012$).

השינוי בדירוג מדד איכות החיים מבחינה דרמטולוגית מתחילת המחקר ועד שבוע 52



5. מה היו תופעות הלוואי?

במחקר זה נבדקו תופעות הלוואי של תרופות המחקר אצל כל המטופלים שקיבלו לפחות מנה אחת של תרופות המחקר, כולל מטופלים שהשתתפו דרך שירות רפואה מרחוק.

לא לכל המטופלים במחקר היו תופעות לוואי.

תופעות לוואי של ריטוקסימאב

תופעות הלוואי הכי נפוצות תופעות הלוואי של ריטוקסימאב הן אירועים רפואיים לא רצויים שהתרחשו אצל לפחות 5% מהמטופלים שטופלו בריטוקסימאב ושנקבע לגביהם שהם קשורים לריטוקסימאב.

תופעות הלוואי הבאות אצל מטופלים שקיבלו ריטוקסימאב התרחשו במהלך שלב הטיפול (52 שבועות):

אנשים שנטלו ריטוקסימאב (67 אנשים בסה"כ)	תופעת לוואי
22% (15 מתוך 67)	תגובה לעירוי
15% (10 מתוך 67)	כאב ראש
10% (7 מתוך 67)	זיהום באף, בגרון או בצינור הנשימה (זיהום בדרכי הנשימה העליונות)
9% (6 מתוך 67)	זיהום באף ובגרון – ידוע גם כהצטננות
9% (6 מתוך 67)	זיהום פטרייתי בפה או בגרון
9% (6 מתוך 67)	כאב מפרקים
9% (6 מתוך 67)	כאב גב
8% (5 מתוך 67)	זיהום בכליה, בשלפוחית השתן או בצינורות המרחיקים את השתן מהגוף (זיהום בדרכי השתן)
8% (5 מתוך 67)	תחושת עייפות
6% (4 מתוך 67)	תחושת סחרחורת
6% (4 מתוך 67)	תחושת חולשה

תופעות לוואי חמורות

אצל 3 מתוך 15 מטופלים שהייתה להם תגובה לעירוי, התגובה הזו הייתה מסכנת-חיים. המטופלים האלה קיבלו טיפול מתאים והבעיה נפתרה, אך היה עליהם להפסיק ליטול ריטוקסימאב.

אחד מ-7 המטופלים שהיה להם זיהום בדרכי הנשימה העליונות נאלץ להתאשפז בבית חולים לצורך טיפול.

תופעות לוואי של MMF

תופעות הלוואי הכי נפוצות

תופעות הלוואי של MMF הן אירועים רפואיים לא רצויים שרופא המחקר קבע לגביהם שהם קשורים ל-MMF.

תופעות הלוואי הנפוצות ביותר של MMF שדווחו היו זיהומים פשוטים של האף, הגרון, צינור הנשימה העליון, דרכי השתן והקיבה או המעי. זיהומים אלה התרחשו אצל 11 מתוך 68 מטופלים (16.2% מהמטופלים). תופעות הלוואי הבאות הכי הנפוצות של MMF היו בעיות קיבה נפוצות כגון שלשול, כאב בטן (בין החזה לאזור החלציים), בחילה (דחף להקיא) ועצירות. בעיות קיבה אלה התרחשו אצל 9 מתוך 68 מטופלים (13.2% מהמטופלים).

תופעות לוואי חמורות

חמישה מטופלים עם אירועים רפואיים שנראה שהיו קשורים ל-MMF נאלצו לקבל טיפול בבית חולים.

לשלושה מ-5 המטופלים האלה היו זיהומים: למטופל אחד היה זיהום של הריאות וכן שפעת, לשני הייתה שלבכת חוגרת, והשלישי חווה החמרה של מחלת הריאות הכרונית שלו שגורמת לחסימה של

זרימת האוויר מהריאות. מתוך 2 המטופלים האחרים שטופלו בבית חולים, לאחד היה כיב על העור והשני התקשה במתן שתן.

6. איך סייע הניסוי הזה למחקר הרפואי?

המידע המוצג כאן לקוח מתוך מחקר יחיד של אנשים עם PV בינונית עד חמורה. תוצאות אלו עזרו לחוקרים לגלות עד כמה ריטוקסימאב הוא יעיל ובטוח לטיפול בחולים עם PV בינונית עד חמורה בהשוואה ל-MMF.

בסך הכול הראה המחקר שריטוקסימאב יעיל יותר מאשר MMF. בסך הכול, 40.3% מהמטופלים שטופלו בריטוקסימאב הגיעו להפוגה מלאה ממושכת ללא סטרואידים (העור והקרומים הריריים נרפאו ללא עקבות של מחלה פעילה ללא סטרואידים במשך לפחות 16 שבועות רצופים), זאת בהשוואה ל-9.5% מאלה שטופלו ב-MMF. המטופלים שקיבלו ריטוקסימאב נטלו כמות קטנה יותר בסך הכול של סטרואידים, הייתה להם סבירות נמוכה יותר להתלקחויות, והם נהנו משיפור גדול יותר באיכות החיים שלהם בהשוואה למטופלים שנטלו MMF. תופעות הלוואי של ריטוקסימאב אצל מטופלים עם PV היו דומים לאלה שנצפו אצל אלה שקיבלו ריטוקסימאב לטיפול במחלות אוטואימוניות אחרות, כגון דלקת מפרקים שיגרנית, גרנולומטוזיס עם פוליאנגיטיס, ופוליאנגיטיס מיקרוסקופית.

מחקר בודד אינו מסוגל לתת לנו את כל המידע על הסיכונים והתועלת של תרופה כלשהי. צריך יותר אנשים ביותר ממחקר אחד כדי לתת לנו פרטים על אופן פעולת התרופה ועל תופעות הלוואי שלה. תוצאות מחקר זה יהיו שונות מתוצאות מחקרים אחרים על אותה תרופה.

- המשמעות היא שאסור לכם לקבל החלטות על סמך התקציר הזה בלבד – שוחחו תמיד עם הרופא שלכם לפני שתקבלו החלטות בנוגע לטיפול בכם.

7. האם יש תוכניות למחקרים נוספים?

מחקר עדכני בצרפת שעורכת קבוצת המחקר הצרפתית בנושא מחלות אוטואימוניות בועיות (French Autoimmune Bullous Diseases Study Group) בוחן את היעילות והבטיחות של ריטוקסימאב אצל מטופלים עם מחלת קרומים ריריים דמוית-פמפיגוס.

במועד כתיבת תקציר זה, Roche אינה מתכננת מחקרים נוספים על ריטוקסימאב לטיפול ב-PV.

8. היכן ניתן למצוא מידע נוסף?

באתרים הבאים ניתן למצוא מידע נוסף על מחקר זה:

• <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02383589>

• <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2014-000382-41>

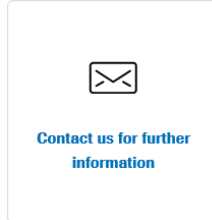
• <https://forpatients.roche.com/>

למי אוכל לפנות אם יהיו לי שאלות לגבי המחקר?

אם יתעוררו אצלכם שאלות נוספות לאחר קריאת תקציר זה:



- בקרו באתר ForPatients: <https://forpatients.roche.com/> לחצו על



, ומלאו את טופס פרטי יצירת הקשר. הימנית התחתונה, ואז על

- פנו לנציג במשרד Roche המקומי.

אם השתתפתם במחקר זה ויש לכם שאלות על תוצאות טיפול המחקר שקיבלתם:

- שוחחו עם רופא או צוות המחקר בבית החולים או המרפאה שבהם נערך המחקר.

אם יש לכם שאלות על הטיפול שאתם מקבלים ב-PV שלכם:

- פנו לרופא המטפל בכם.

מי יזם ומימן את המחקר הזה?

את המחקר הזה יזמה ומימנה חברת התרופות F. Hoffmann-La Roche Ltd שמשרדיה הראשיים שוכנים בבאזל, שווייץ.

שמו המלא של המחקר ופרטי זיהוי נוספים שלו

שמו המלא של המחקר הוא:

מחקר אקראי, כפול-סמיות, כפול-פלצבו, רב-מרכזי, עם תרופת השוואה פעילה, להערכת היעילות והבטיחות של ריטוקסימאב לעומת MMF במטופלים עם פמפיגוס וולגריס.

המחקר ידוע בשם 'PEMPHIX'.

מספר הפרוטוקול של המחקר הוא: WA29330.

מס' זיהוי המחקר באתר ClinicalTrials.gov הוא: NCT02383589.

מספר EudraCT של המחקר הוא: 2014-000382-41.