

Resultaten klinische studie – Samenvatting

Een studie waarin werd bekeken of pirfenidone werkte bij mensen met niet-classificeerbare interstitiële longziekte – en hoe veilig dit medicijn was

De volledige titel van de studie is aan het einde van de samenvatting te vinden.

Inhoud van de samenvatting

1. Algemene informatie over deze studie
2. Wie nam deel aan deze studie?
3. Wat gebeurde er tijdens de studie?
4. Wat waren de resultaten van de studie?
5. Wat waren de bijwerkingen?
6. Hoe heeft deze studie het onderzoek geholpen?
7. Zijn er plannen voor andere studies?
8. Waar kan ik meer informatie vinden?
9. Verklarende woordenlijst
10. Infografische samenvatting

Over deze samenvatting

Dit is een samenvatting van de resultaten van een klinische studie (in dit document 'studie' genoemd) – geschreven voor:

- het algemeen publiek en
- mensen die aan de studie deelnamen.

Deze samenvatting is gebaseerd op informatie die op het moment van schrijven bekend was (september 2019). Er kan inmiddels meer informatie bekend zijn.

De studie is gestart in mei 2017 en zal eindigen in januari 2020. Deze studie bestaat uit twee delen. In het eerste deel van de studie werd bekeken hoe goed het studiemedicijn werkte – en hoe veilig dit medicijn was. Het tweede deel van de studie focust zich op de veiligheid van het medicijn.

Deze samenvatting bevat de resultaten tot november 2018. In deze samenvatting worden de volledige resultaten van het eerste deel van de studie gepresenteerd. Op het moment van schrijven van deze samenvatting vindt het tweede deel van de studie nog plaats.

Eén enkele studie kan ons nooit alles over de risico's en voordelen van een medicijn vertellen. Er zijn vele mensen in vele studies nodig om alle benodigde informatie te vinden. De resultaten uit deze studie kunnen verschillen ten opzichte van andere studies met hetzelfde medicijn.

Dit betekent dat u geen beslissingen dient te nemen enkel op basis van deze samenvatting – spreek altijd met uw arts voordat u beslissingen neemt over uw behandeling.

We danken de mensen die aan deze studie deelnemen

De mensen die aan deze studie deelnemen, helpen de onderzoekers bij het beantwoorden van belangrijke vragen over niet-geclassificeerde interstitiële longziekte en pirfenidone.

Belangrijke informatie over deze studie

- Deze studie is uitgevoerd om pirfenidone (het 'studiemedicijn') te vergelijken met een placebo bij mensen met niet-classificeerbare interstitiële longziekte
 - In deze studie kregen de mensen één van de volgende behandelingen toegediend:
 - Driemaal daags 801 mg oraal pirfenidone
 - Een placebo
 - Er werd willekeurig beslist welke behandeling elke persoon zou krijgen
 - Deze studie bestaat uit twee delen. In het eerste deel is gekeken naar hoe goed pirfenidone werkte – en hoe veilig het was. Het tweede deel zal zich richten op de veiligheid van pirfenidone
 - In deze samenvatting worden de resultaten van het eerste deel van de studie gepresenteerd. Op het moment van schrijven vindt het tweede deel van de studie nog plaats
 - Aan deze studie namen 253 mensen in 14 landen deel
- De toestellen die mensen mee naar huis namen om de longfunctie te meten, waren echter zo ingesteld dat ze het beste werkten als er drie metingen per dag werden uitgevoerd. In deze studie hebben mensen hun longfunctie maar eenmaal per dag gemeten, waardoor de spirometer hen niet kon waarschuwen indien ze een fout gemaakt hadden.
- Als gevolg daarvan hebben de spirometers enkele onmogelijke longfunctiewaarden vastgelegd en konden onderzoekers niet de benodigde informatie krijgen om te achterhalen of pirfenidone een effect had op de longfunctie wanneer die thuis werd gemeten.
 - De longfunctietesten in het ziekenhuis werkten zoals verwacht en toonden aan dat de longen van mensen die gedurende 6 maanden placebo namen verslechterden in vergelijking met mensen die pirfenidone namen
 - Minder dan 1% van de mensen (1 van de 127) die pirfenidone namen had ernstige

- In deze studie is een nieuwe manier getest voor het meten van de longfunctie, door mensen te vragen dagelijks thuis de eigen longfunctie te meten
 - In deze studie is de longfunctie ook tijdens ziekenhuisbezoeken gemeten
- bijwerkingen. Minder dan 1% van de mensen (1 van de 124) die placebo namen had ernstige bijwerkingen

1. Algemene informatie over deze studie

Waarom is deze studie uitgevoerd?

Interstitiële longziektes (interstitial lung diseases, ILD's) zijn ziektes waarbij littekenvorming in de longen ontstaat en ademen moeilijk wordt. Er zijn vele verschillende soorten ILD. Bij niet-geclassificeerde ILD (unclassifiable ILD, uILD) weten de artsen niet zeker welk type ILD een persoon heeft.

Er zijn geen geneesmiddelen om mensen met uILD te behandelen.

Het medicijn 'pirfenidone' helpt mensen met een type ILD genaamd idiopathische pulmonale fibrose (IPF). IPF en sommige andere types uILD zijn op vele manieren vergelijkbaar. Onderzoekers wilden meer te weten komen over het feit of pirfenidone ook mensen met uILD kan helpen.

Wat was het studiemedicijn?

In het middelpunt van deze studie stond een medicijn genaamd 'pirfenidone' (Esbriet[®]).

- Pirfenidone werkt door littekenvorming – fibrose – te vertragen in de longen van mensen met IPF.
- Dit betekent dat pirfenidone ook littekenvorming kan vertragen in de longen van mensen met uILD.

Pirfenidone werd vergeleken met een 'placebo'.

- Dit wordt uitgesproken als 'pla – see – bo'.
- De placebocapsule zag er hetzelfde uit als de pirfenidonecapsule, maar bevatte geen echt medicijn. Dit betekent dat het geen medisch effect had op het lichaam.
- Onderzoekers vergeleken pirfenidone met een placebo om aan te kunnen tonen welke voordelen of bijwerkingen daadwerkelijk door pirfenidone worden veroorzaakt.

Wat wilden de onderzoekers te weten komen?

- Onderzoekers hebben deze studie uitgevoerd om pirfenidone met een placebo te vergelijken – om te zien hoe goed het studiemedicijn werkte (zie paragraaf 4 ‘Wat waren de resultaten van de studie?’).
- Ze wilden ook nagaan hoe veilig het medicijn was – door te controleren hoeveel mensen tijdens deze studie bijwerkingen kregen bij het nemen van pirfenidone of een placebo (zie paragraaf 5 ‘Wat waren de bijwerkingen?’).

De hoofdvraag die de onderzoekers wilden beantwoorden was:

1. Heeft pirfenidone een effect op afname van de longfunctie gedurende 6 maanden bij dagelijkse meting thuis?

Andere vragen die de onderzoekers wilden beantwoorden waren:

2. Heeft pirfenidone een effect op afname van de longfunctie gedurende 6 maanden bij meting tijdens ziekenhuisbezoeken?
3. Heeft pirfenidone een effect op de afstand die mensen in 6 minuten konden stappen tijdens de studie?
4. Hadden mensen tijdens de studie het gevoel dat pirfenidone hun symptomen verminderde?

Wat voor soort studie was dit?

Deze studie was een ‘fase 2’-studie. Dit betekent dat pirfenidone voorafgaand aan deze studie al werd getest op een aantal mensen, maar dat dit de eerste studie was met mensen met uILD.

De studie was ‘gerandomiseerd’. Dit betekent dat willekeurig werd bepaald welke mensen in de studie pirfenidone zouden ontvangen, zoals bij het opgooien van een muntstuk. In deze studie namen mensen met uILD pirfenidone of een placebo.

Deze studie was ‘dubbelblind’. Dit betekent dat zowel de deelnemers aan de studie als de studieartsen niet wisten welke mensen pirfenidone kregen.

Een studie wordt ‘geblindeerd’ om te garanderen dat de effecten van het medicijn niet ontstaan door de verwachtingen die sommige mensen zouden hebben als zij zouden weten welk medicijn ze zouden krijgen.

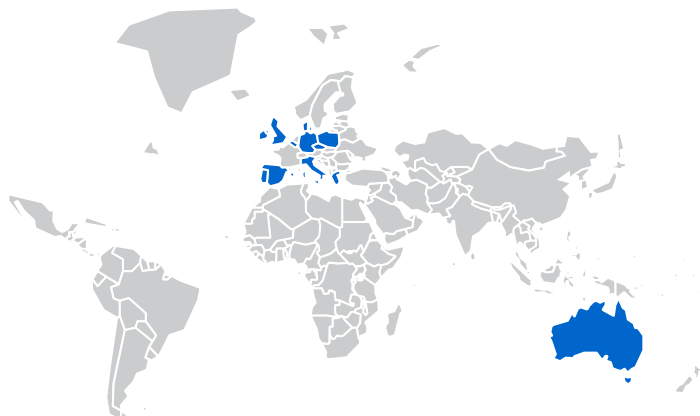
Wanneer en waar vond de studie plaats?

De studie is gestart in mei 2017 en zal eindigen in januari 2020. Deze studie bestaat uit twee delen. In het eerste deel van de studie werd bekeken hoe goed het studiemedicijn werkte en hoe veilig dit medicijn was. Het tweede deel van de studie is gericht op de veiligheid van het medicijn.

Deze samenvatting bevat de resultaten tot november 2018. In deze samenvatting worden de complete resultaten van het eerste deel van de studie gepresenteerd. Op het moment dat deze samenvatting geschreven is, was het tweede deel van de studie nog aan de gang.

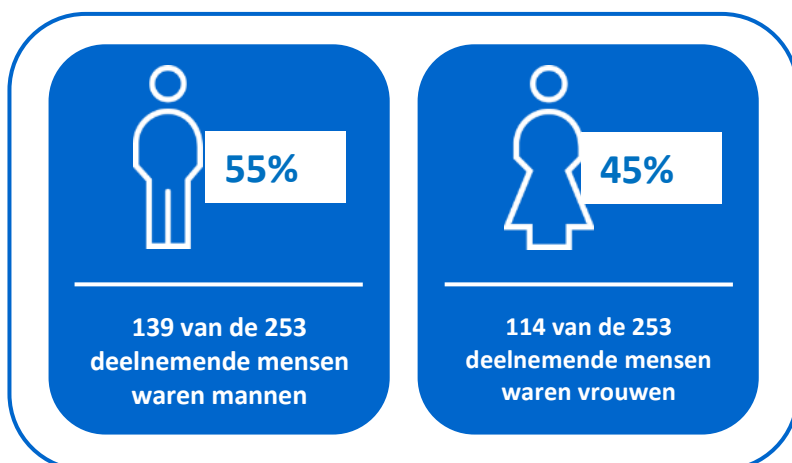
De studie vond plaats in 70 studiecentra – in 14 landen. Op de volgende kaart zijn de landen te zien waarin deze studie plaatsvond.

Australië
België
Canada
Denemarken
Duitsland
Griekenland
Ierland
Israël
Italië
Polen
Portugal
Spanje
Tsjechië
Verenigd Koninkrijk



2. Wie nam deel aan deze studie?

Er namen 253 volwassenen met uILD aan deze studie deel.



Mensen konden aan de studie deelnemen als ze aan deze criteria voldeden:

- Ze hadden uILD die verergerde.
- Op meer dan 10% van het longweefsel was littekenvorming te zien – fibrose.
- Ze hadden nog ten minste 45% van de longfunctie die je zou verwachten bij een gezonde persoon met dezelfde leeftijd en hetzelfde geslacht.

Mensen konden niet aan de studie deelnemen als ze aan deze criteria voldeden:

- Ze hadden enig ander ernstig gezondheidsprobleem.
- Ze namen bepaalde medicijnen.
- Ze rookten of waren pas in de voorgaande 3 maanden met roken gestopt.

3. Wat gebeurde er tijdens de studie?

Tijdens de studie werden mensen willekeurig geselecteerd om een van twee behandelingen te nemen. De behandelingen werden op basis van toeval bepaald door een computer.

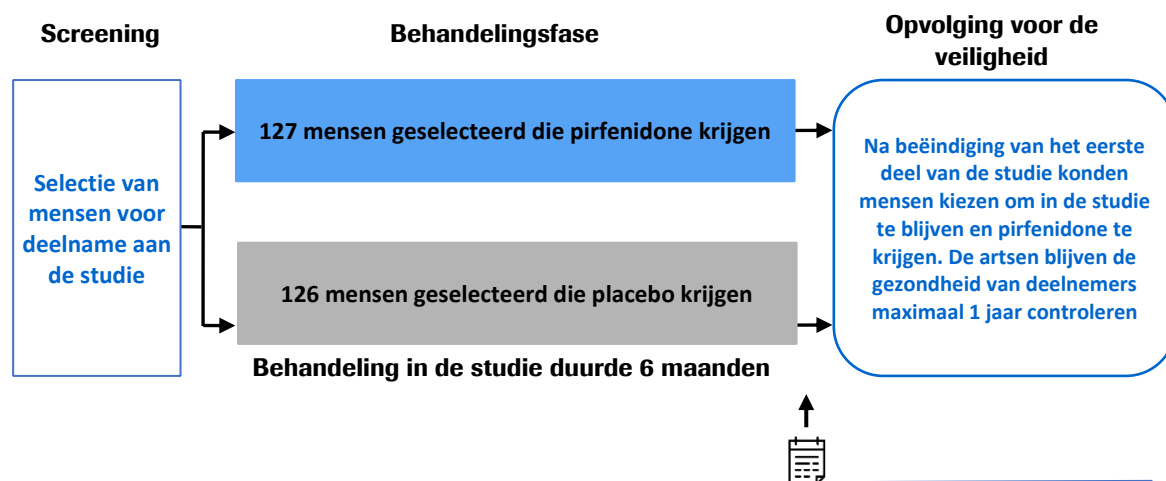
De mensen in de studie namen de behandelingen gedurende 6 maanden. De mensen bezochten het ziekenhuis elke maand in de 6 maanden waarin ze de behandeling namen. Dit onderdeel van de studie wordt behandelingsfase genoemd.

De twee behandelingsgroepen waren:

- **Pirfenidone** (het studiemedicijn) – 801 milligram (801 mg), driemaal daags oraal.
- **Placebo** – driemaal daags oraal.

Na 6 maanden kwamen mensen in de studie te weten of ze pirfenidone of placebo gekregen hadden in de behandelingsfase. Ze konden kiezen of ze aan het tweede deel van de studie wilden deelnemen. Het tweede deel van de studie wordt de opvolging voor de veiligheid genoemd. De mensen die in de behandelingsfase pirfenidone kregen, bleven dit nemen tijdens de opvolging voor de veiligheid. De mensen die in de behandelingsfase placebo kregen, stapten voor de opvolging voor de veiligheid over naar pirfenidone. De opvolging voor de veiligheid vindt nog steeds plaats, dus sommige mensen worden nog steeds met pirfenidone behandeld.

In deze samenvatting worden de resultaten van de behandelingsfase van de studie gepresenteerd. Hieronder is meer informatie over de gebeurtenissen tijdens de studie te vinden.



4. Wat waren de resultaten van de behandelingsfase van de studie? In deze samenvatting worden resultaten gepresenteerd tot aan dit deel van de studie

Vraag 1: Heeft pirfenidone een effect op afname van de longfunctie gedurende 6 maanden bij dagelijkse meting thuis?

De mensen in deze studie kregen een apparaat mee naar huis, genaamd spirometer. De spirometer kan meten hoeveel lucht kan worden uitgeademd na een zo groot mogelijke inademing – de geforceerde vitale capaciteit. Elke persoon voerde dagelijks thuis de meting van de geforceerde vitale capaciteit uit.

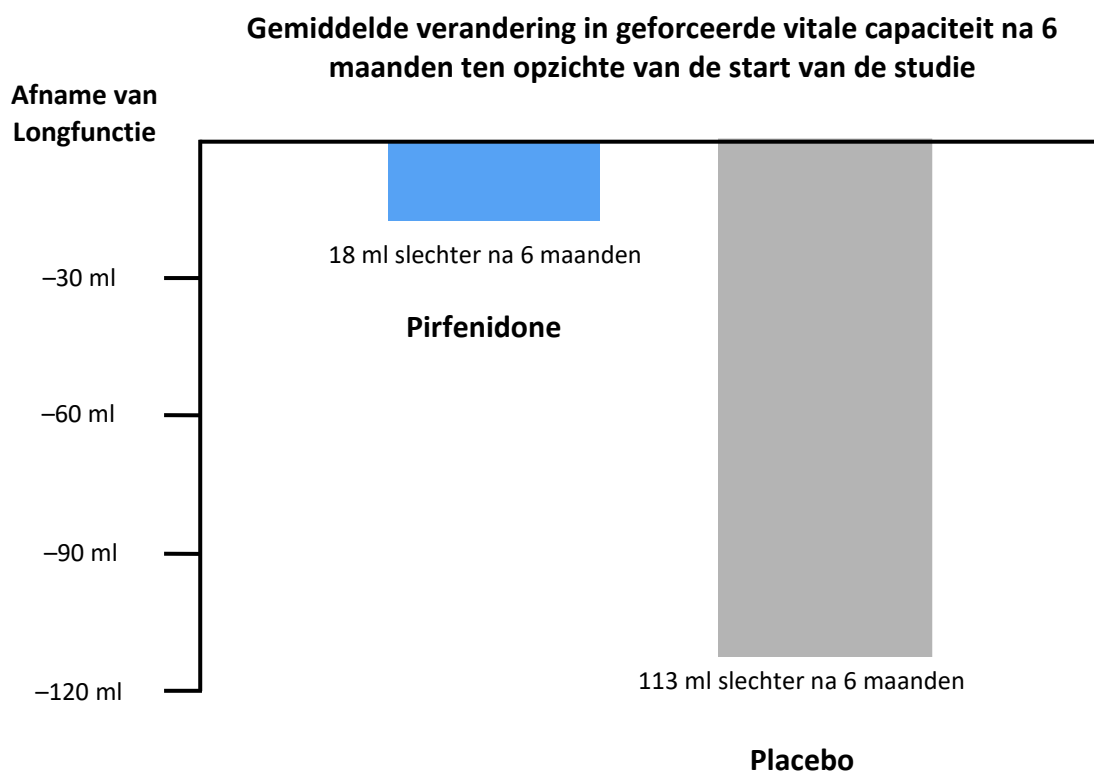
De toestellen die mensen mee naar huis namen om de longfunctie te meten, waren echter zo ingesteld dat ze het beste werkten als er drie metingen per dag werden uitgevoerd. In deze studie hebben mensen hun longfunctie maar eenmaal per dag gemeten, waardoor de spirometer hen niet kon waarschuwen indien ze een fout gemaakt hadden. Als gevolg daarvan hebben de spirometers enkele onmogelijke longfunctiewaarden vastgelegd en konden onderzoekers niet de benodigde informatie krijgen om te achterhalen of pirfenidone een effect had op de longfunctie wanneer die thuis werd gemeten.

Vraag 2: Heeft pirfenidone een effect op afname van de longfunctie gedurende 6 maanden bij meting tijdens ziekenhuisbezoeken?

De onderzoekers gebruikten ook de traditionele methode voor het meten van de longfunctie – meting van geforceerde vitale capaciteit in het ziekenhuis. De mensen lieten elke maand gedurende 6 maanden hun longfunctie controleren in het ziekenhuis.

De onderzoekers wilden weten in hoeverre de geforceerde vitale capaciteit veranderde na 6 maanden ten opzichte van de start van de studie. Ze vergeleken de veranderingen in de pirfenidone- en de placebogroep om te zien of er een verschil waarneembaar was.

- De longfunctie verslechterde in beide groepen.
- De longfunctie verslechterde meer in de groep met mensen die placebo namen dan in de groep met mensen die pirfenidone namen.

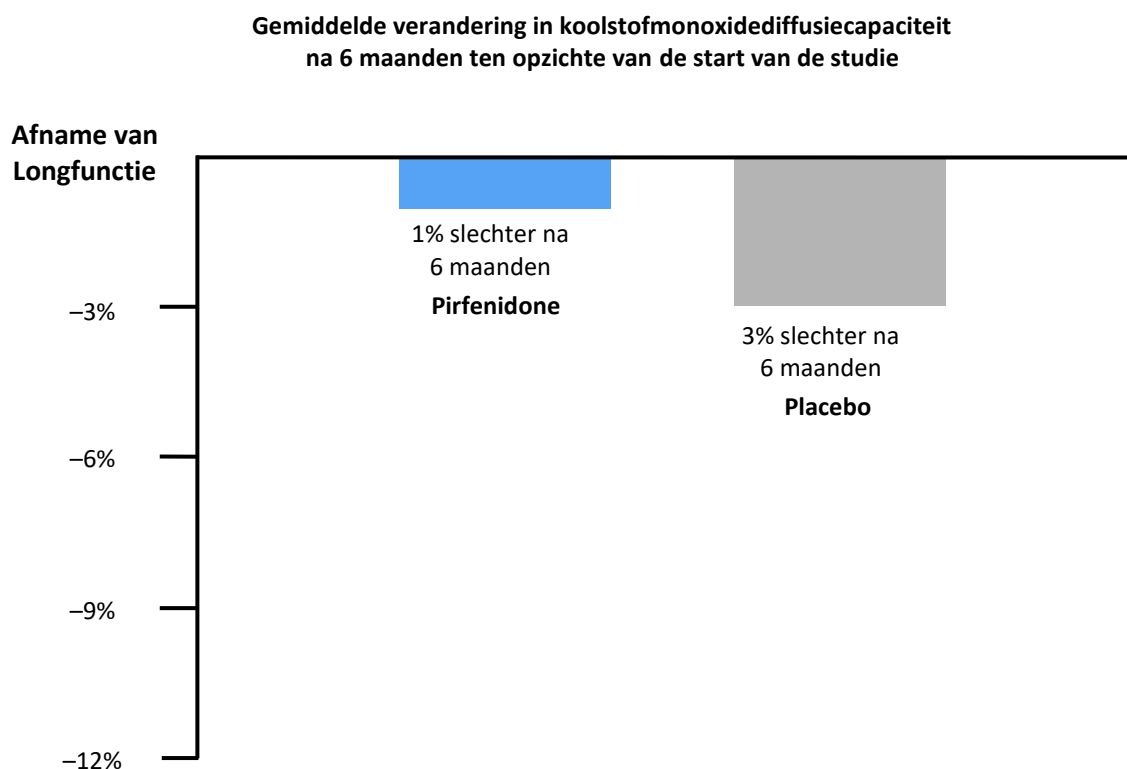


Er zijn meer manieren om de longfunctie te meten dan enkel geforceerde vitale capaciteit. De onderzoekers voerden metingen uit om te zien hoe goed de longen van mensen zuurstof in het bloed konden overbrengen – de koolstofmonoxidediffusiecapaciteit. De resultaten zijn voorgesteld als het percentage van de waarde die men zou verwachten voor een gezonde persoon van dezelfde leeftijd en hetzelfde geslacht. Bijvoorbeeld, als de longen van iemand met uILD half zo goed zuurstof kunnen verwerken als de longen van iemand zonder uILD, hebben ze een koolstofmonoxidediffusiecapaciteit van 50%.

De onderzoekers wilden weten in hoeverre de koolstofmonoxidediffusiecapaciteit veranderde na 6 maanden ten opzichte van de start van de studie. Ze vergeleken de veranderingen in de pirfenidone- en de placebogroep om te zien of er een verschil waarneembaar was.

- De koolstofmonoxidediffusiecapaciteit verslechterde in beide groepen.

- Het verschil tussen de twee groepen was te klein om te bepalen of pirfenidone een effect had op de koolstofmonoxidediffusiecapaciteit.



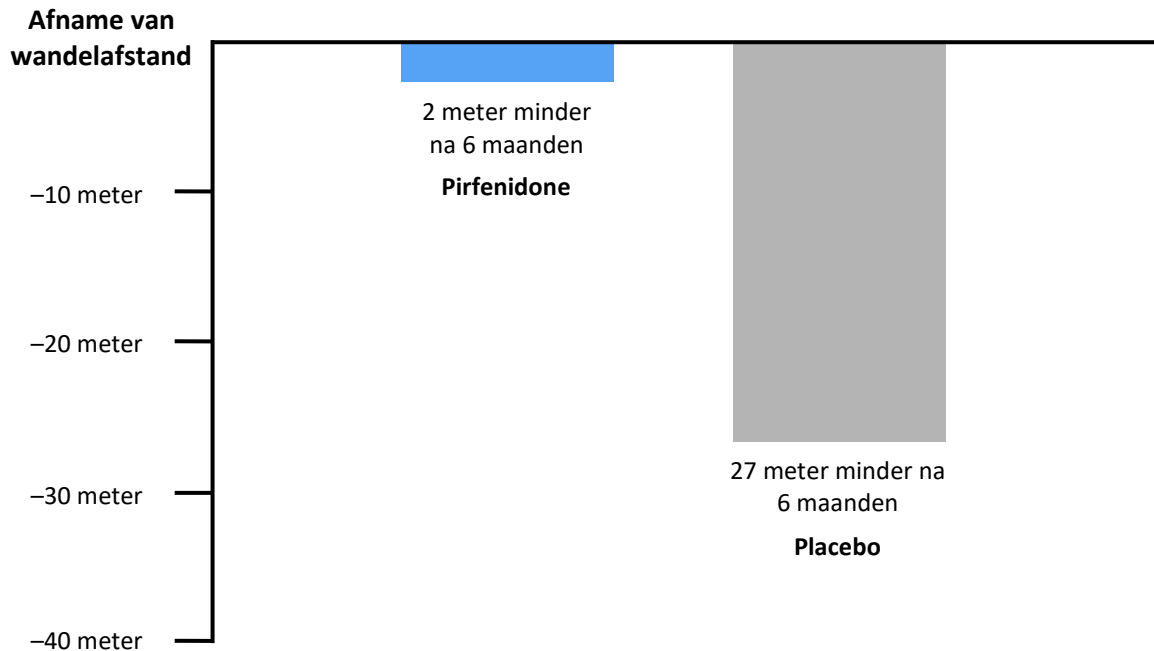
Vraag 3: Heeft pirfenidone een effect op de afstand die mensen in 6 minuten konden stappen tijdens de studie?

De onderzoekers hebben ook gekeken hoe ver mensen in de studie in 6 minuten konden wandelen – de 6-minuten wandelafstand. Er werd gekeken naar de 6-minuten wandelafstand, omdat mensen met ILD gemakkelijk buiten adem kunnen raken en moeite kunnen hebben om zo ver te wandelen als ze gewend waren.

De onderzoekers wilden weten in hoeverre de 6-minuten wandelafstand veranderde na 6 maanden ten opzichte van de start van de studie. Ze vergeleken de veranderingen in de pirfenidone- en de placebogroep om te zien of er een verschil waarneembaar was.

- De 6-minuten wandelafstand verslechterde in beide groepen.
- De 6-minuten wandelafstand verslechterde meer in de groep met mensen die placebo namen dan in de groep met mensen die pirfenidone namen.

Gemiddelde verandering in de 6-minuten wandelafstand na 6 maanden ten opzichte van de start van de studie



Vraag 4: Hadden mensen met uILD het gevoel dat pirfenidone hun symptomen verminderde?

De symptomen van uILD kunnen niet worden geëlimineerd, maar sommige behandelingen kunnen de invloed van de symptomen op het dagelijks leven verkleinen. De onderzoekers vroegen mensen in de studie om een aantal vragenlijsten in te vullen over ademnood en hoest. De onderzoekers stelden ook vragen over het algemene welzijn – de kwaliteit van leven. De onderzoekers vroegen naar het welzijn, omdat mensen met ILD zich depressief kunnen voelen of beperkt kunnen worden door hun symptomen.

- De mensen in de groepen met pirfenidone en placebo gaven vergelijkbare antwoorden in de vragenlijsten.
- De verschillen tussen de twee groepen waren te klein om te bepalen of pirfenidone een effect had op ademnood, hoest of de kwaliteit van leven.

5. Wat waren de bijwerkingen?

Bijwerkingen, ook ongewenste neveneffecten genoemd, zijn ongewenste medische problemen (zoals hoofdpijn) die tijdens de studie optreden.

- Ze worden in deze samenvatting genoemd, omdat de studiearts van mening is dat de bijwerkingen verband hielden met de behandelingen in de studie (met pirfenidone of placebo). Van de bijwerkingen kon worden aangenomen dat ze verband hielden met placebo, omdat de studieartsen niet wisten of mensen pirfenidone of placebo namen.
- Niet alle bijwerkingen traden bij alle mensen in deze studie op.

De ernstige en vaak voorkomende bijwerkingen worden in de volgende paragrafen genoemd.

Ernstige bijwerkingen

Een bijwerking wordt als 'ernstig' beschouwd als deze levensbedreigend is, zorg in het ziekenhuis vereist of blijvende problemen veroorzaakt.

Tijdens deze studie had minder dan 1 op de 100 mensen (minder dan 1%) ten minste één ernstige bijwerking. Minder dan 1% van de mensen met pirfenidone had een ernstige bijwerking. Minder dan 1% van de mensen met placebo had een ernstige bijwerking.

Er zijn twee ernstige bijwerkingen gemeld in deze studie. Eén ervan trad op bij een persoon die pirfenidone nam en één bij iemand die placebo nam.

	Mensen die pirfenidone namen (127 mensen in totaal)	Mensen die placebo namen (124 mensen in totaal)
Gemelde ernstige bijwerkingen in deze studie	Verminderd hongergevoel Minder dan 1% (1 van 127 mensen)	Leverproblemen Minder dan 1% (1 van 124 mensen)

Niemand in deze studie overleed als gevolg van bijwerkingen die verband zouden kunnen houden met een van de studiemedicijnen.

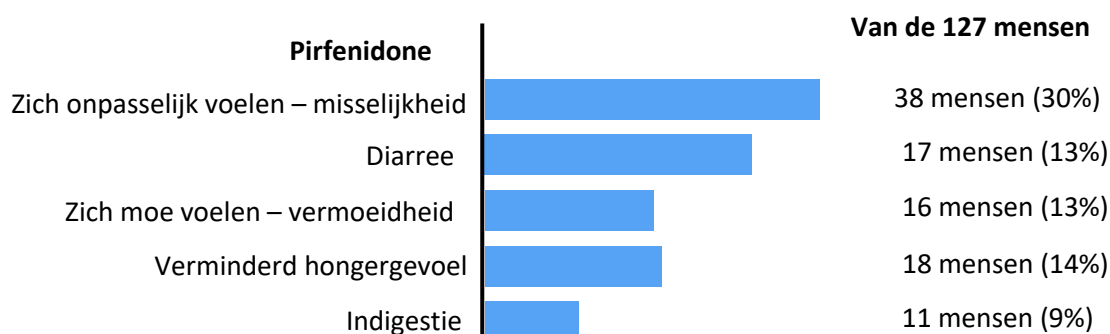
Tijdens de studie hebben sommige mensen besloten om te stoppen met het nemen van hun medicijn:

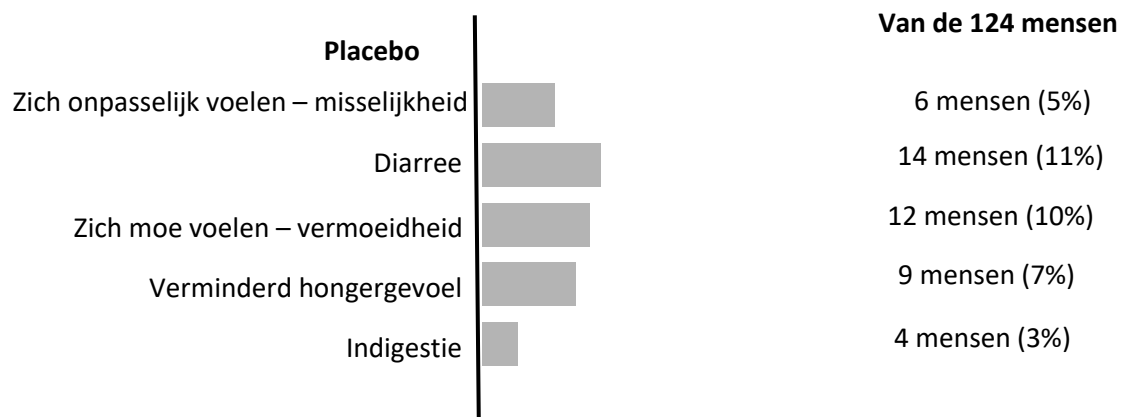
- In de groep met pirfenidone stopten 25 van de 127 mensen (20%) met het nemen van hun medicijn; bij 16 van de 127 mensen (13%) had dit te maken met een bijwerking van het medicijn.
- In de groep met placebo stopten 10 van de 124 mensen (8%) met het nemen van hun medicijn; bij 1 van de 124 mensen (minder dan 1%) had dit te maken met een bijwerking van het medicijn.

Vaakst voorkomende bijwerkingen

Tijdens deze studie trad bij bijna 60 op de 100 mensen (59%) een bijwerking op. Ongeveer 71% van de mensen met pirfenidone had een bijwerking, vergeleken met 46% van de mensen met placebo.

De vaakst voorkomende bijwerkingen worden getoond in het volgende overzicht – dit waren de vijf vaakst voorkomende bijwerkingen bij alle mensen die aan de studie deelnamen.





Andere bijwerkingen

Aan het einde van deze samenvatting is informatie te vinden over andere, niet in de bovenstaande paragrafen genoemde bijwerkingen – zie paragraaf 8.

6. Hoe heeft deze studie het onderzoek geholpen?

De hier gepresenteerde informatie komt uit één enkele studie met 253 mensen met uILD. Door deze resultaten hebben onderzoekers meer kennis vergaard over uILD en pirfenidone.

In deze studie is een nieuwe manier getest voor het meten van de longfunctie, door mensen te vragen dagelijks thuis de eigen longfunctie te meten. De toestellen die mensen mee naar huis namen om de longfunctie te meten, waren echter zo ingesteld dat ze het beste werkten als er drie metingen per dag werden uitgevoerd. In deze studie hebben mensen hun longfunctie maar eenmaal per dag gemeten, waardoor de spirometer hen niet kon waarschuwen indien ze een fout gemaakt hadden. Als gevolg daarvan hebben de spirometers enkele onmogelijke longfunctiewaarden vastgelegd en konden onderzoekers niet de benodigde informatie krijgen om te achterhalen of pirfenidone een effect had op de longfunctie wanneer die thuis werd gemeten. De onderzoekers zullen moeten nagaan hoe de apparaten goed kunnen worden ingesteld om te voorkomen dat in toekomstige klinische studies hetzelfde probleem ontstaat.

Mensen in de studie kwamen ook voor bezoeken naar het ziekenhuis om de longfunctie en de 6-minuten wandelafstand te meten. Hoewel de geforceerde vitale capaciteit en de 6-minuten wandelafstand in zowel de pirfenidone- als de placebogroep verslechterde, verslechterde dit meer bij mensen die placebo namen dan bij mensen die pirfenidone namen.

De onderzoekers voerden ook metingen uit om te zien hoe goed de longen van mensen zuurstof in het bloed konden overbrengen – de koolstofmonoxidediffusiecapaciteit. De koolstofmonoxidediffusiecapaciteit verslechterde in beide behandelingsgroepen. Het verschil tussen de twee groepen was te klein om te bepalen of pirfenidone een effect had op de koolstofmonoxidediffusiecapaciteit.

De mensen in de studie vulden vragenlijsten in over ademnood, hoest en algemeen welzijn – de kwaliteit van leven. De mensen in de groepen met pirfenidone en placebo gaven vergelijkbare antwoorden in de vragenlijst. De verschillen tussen de twee groepen waren te klein om te bepalen of pirfenidone een effect had op ademnood, hoest of de kwaliteit van leven.

Onderzoekers keken ook naar medische problemen bij mensen tijdens de studie. Minder dan 1% van de mensen die pirfenidone namen, had een ernstige bijwerking. Ongeveer 71% van de mensen die pirfenidone namen had een bijwerking, vergeleken met 46% van de mensen die placebo namen.

Eén enkele studie kan ons nooit alles over de risico's en voordelen van een medicijn vertellen. Er zijn vele mensen in vele studies nodig om alle benodigde informatie te vinden. De resultaten uit deze studie kunnen verschillen ten opzichte van andere studies met hetzelfde medicijn.

- Dit betekent dat u geen beslissingen dient te nemen enkel op basis van deze samenvatting – spreek altijd met uw arts voordat u beslissingen neemt over uw behandeling.

7. Zijn er plannen voor andere studies?

Op het moment dat deze samenvatting geschreven wordt, zijn er geen andere studies gepland met pirfenidone bij uILD.

De studie is gestart in mei 2017 en zal eindigen in januari 2020. Deze studie bestaat uit twee delen. In het eerste deel van de studie werd bekeken hoe goed het studiemedicijn werkte en hoe veilig dit medicijn was. Het tweede deel van de studie focust zich op de veiligheid van het medicijn.

Deze samenvatting bevat de resultaten tot november 2018. In deze samenvatting worden de volledige resultaten van het eerste deel van de studie gepresenteerd. Op het moment dat deze samenvatting geschreven is, is het tweede deel van de studie nog aan de gang.

8. Waar kan ik meer informatie vinden?

Op de onderstaande websites kunt u meer informatie vinden over deze studie:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03099187>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2016-002744-17>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>

Als u meer te weten wilt komen over de resultaten van deze studie, is dit de volledige titel van de relevante wetenschappelijke publicatie: 'Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive fibrosing interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial' (pirfenidone bij patiënten met niet-classificeerbare progressieve fibroserende interstitiële longziekte: een dubbelblinde, gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase 2-

studie). De auteurs van de wetenschappelijke publicatie zijn: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer en anderen. De publicatie is geplaatst in het tijdschrift 'Lancet Respiratory Medicine'.

Met wie kan ik contact opnemen bij vragen over deze studie?

Als u na het lezen van deze samenvatting nog vragen hebt:

- Bezoek het ForPatients-platform en vul het contactformulier in – <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>
- Neem contact op met een persoon bij uw plaatselijke kantoor van Roche.

Als u aan deze studie deelnam en vragen hebt over de resultaten:

- Spreek met de studiearts of het studiepersoneel in het studieziekenhuis of -centrum.

Als u vragen hebt over uw eigen behandeling:

- Spreek met de arts die verantwoordelijk is voor uw behandeling.

Wie organiseerde en betaalde deze studie?

Deze studie is georganiseerd en betaald door F. Hoffmann-La Roche Ltd, met hoofdkantoor in Basel, Zwitserland. Deze studie is oorspronkelijk ontwikkeld als onderdeel van een toelage voor klinische wetenschappers, gefinancierd door de NIHR, toegewezen aan professor Toby M. Maher (NIHR-referentie: CS-2013-13-017), en vervolgens aangepast na gesprekken met F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Volledige titel van de studie en andere informatie ter identificatie

De volledige titel van deze studie is: 'Een multicentrische, internationale, dubbelblinde, twee-armige, gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase II-studie met pirfenidone bij patiënten met niet-classificeerbare progressieve fibroserende ILD'.

- Het protocolnummer voor deze studie is: MA39189.
- Het identificatienummer voor deze studie op ClinicalTrials.gov is: NCT03099187.
- Het EudraCT-nummer voor deze studie is: 2016-002744-17.

9. Verklarende woordenlijst

6-minuten wandelafstand	Hoe ver een persoon in 6 minuten kan wandelen op een vlakke ondergrond
Bijwerkingen	Ongewenste medische problemen die optreden nadat mensen een medicijn genomen hebben
Dubbelblind	<p>Sommige klinische studies bevatten meer dan één behandeling; onderzoekers willen die vergelijken. Vele klinische studies bevatten bijvoorbeeld:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Een studiemedicijn ● Een placebo <p>In een 'dubbelblinde' studie weten zowel de mensen die aan de studie deelnemen als de studieartsen niet welke mensen het studiemedicijn nemen en welke mensen de placebo nemen</p>
Ernstige bijwerking	Een bijwerking die levensbedreigend is, zorg in het ziekenhuis vereist of blijvende problemen veroorzaakt
Fase 2-studie	<p>Fase 2-studies vinden plaats nadat een medicijn getest is op mensen zonder gezondheidsproblemen</p> <p>Een fase 2-studie is gericht op het aantonen dat het medicijn echt voordeel biedt aan mensen met een gezondheidsprobleem</p>
Fibrose	Littekenvorming
Geforceerde vitale capaciteit	Hoeveel lucht een persoon kan uitademen na een zo diep mogelijke inademing
Gerandomiseerd	<p>Sommige klinische studies gebruiken meer dan één behandeling; onderzoekers willen die vergelijken. Vele klinische studies gebruiken bijvoorbeeld:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Een studiemedicijn ● Een placebo <p>Gerandomiseerd betekent dat de behandeling die een persoon in de studie krijgt willekeurig is bepaald door een computer</p>
Idiopathische pulmonale fibrose (IPF)	Een ziekte waarbij littekenvorming in de longen ontstaat en ademhaling moeilijk wordt

	Idiopathische pulmonale fibrose is een type interstitiële longziekte
Interstitiële longziekten (ILD's)	Een groep ziektes waarbij littekenvorming in de longen ontstaat en ademhaling moeilijk wordt
Klinische studie	<p>In een klinische studie – of studie – geven onderzoekers een groep mensen een medicijn</p> <p>De onderzoekers volgen de mensen die het medicijn nemen regelmatig en voeren medische testen uit</p> <p>Klinische studies hebben als doel na te gaan of een nieuw medicijn veilig is, of het bijwerkingen heeft, of het beter werkt dan het medicijn dat op dit moment wordt gebruikt en of het helpt om mensen zich beter te laten voelen</p>
Koolstofmonoxidediffusiecapaciteit	Hoe goed de longen van een persoon zuurstof kunnen overbrengen vanuit de lucht naar het bloed
Kwaliteit van leven	Het algemene welzijn
Longfunctie	Hoe goed de longen werken
Misselijkheid	Een onpasselijk gevoel
Niet-classificeerbare interstitiële longziekte (uILD)	Als artsen niet zeker kunnen vaststellen welk type interstitiële longziekte een persoon heeft
Pirfenidone (Esbriet®)	<p>Een medicijn dat gebruikt wordt om mensen met idiopathische pulmonale fibrose te behandelen</p> <p>Pirfenidone werkt door littekenvorming te vertragen in de longen van mensen met idiopathische pulmonale fibrose</p>
Placebo	<p>Een behandeling in een klinische studie die geen echt medicijn bevat</p> <p>Mensen die deelnemen aan een klinische studie krijgen één van de volgende:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Het echte studiemedicijn • Een placebo die er net zo uitziet als het studiemedicijn <p>Placebo's helpen onderzoekers aan te tonen welke voordelen of bijwerkingen worden veroorzaakt door het medicijn</p>

Spirometer	Een apparaat voor het testen van de geforceerde vitale capaciteit – longfunctie
Vermoeidheid	Zich vermoeid voelen

Een studie naar pirfenidon bij niet-classificeerbare interstitiële longziekte



Dit is een samenvatting van de resultaten van een klinische studie die in september 2019 is geschreven voor gewone mensen en voor mensen die aan de studie hebben deelgenomen. Geen enkele studie kan ons alles over de risico's en voordelen van een geneesmiddel vertellen. Er zijn veel mensen in vele studies nodig om alle benodigde informatie te achterhalen. De resultaten uit deze studie kunnen verschillen ten opzichte van die van andere studies met hetzelfde geneesmiddel. Dit betekent dat u geen beslissingen mag nemen op basis van deze ene samenvatting. Praat altijd met uw arts voordat u beslissingen neemt over uw behandeling.

Samenvatting van de studie

Deze studie werd uitgevoerd om na te gaan of pirfenidon mensen met niet-classificeerbare interstitiële longziekte (uILD) helpt door de effecten ervan te vergelijken met een placebo.

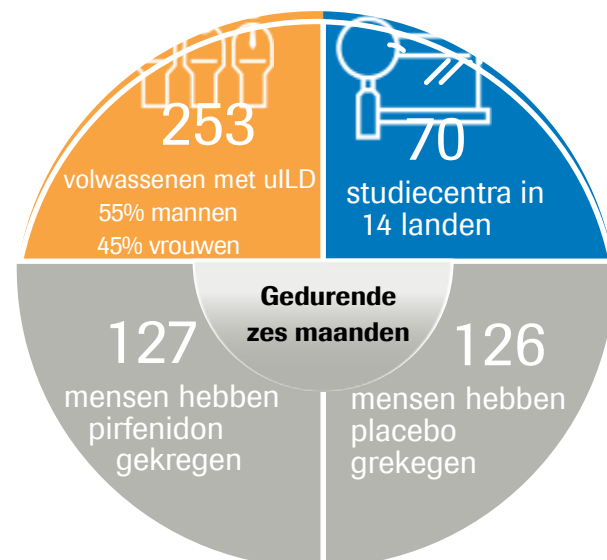
Pirfenidon helpt mensen met een type ILD genaamd idiopathische longfibrose (IPF). IPF en sommige andere types uILD zijn op vele manieren vergelijkbaar. Onderzoekers wilden meer te weten komen over het feit of pirfenidon ook mensen met uILD kan helpen.

In deze studie is ook een nieuwe manier getest voor het meten van de longfunctie, door mensen te vragen dagelijks thuis de eigen longfunctie te meten. De toestellen die mensen mee naar huis namen om de longfunctie te meten, waren echter zo ingesteld dat ze het beste werkten als er drie metingen per dag werden uitgevoerd. In deze studie hebben mensen hun longfunctie maar eenmaal per dag gemeten, waardoor de spirometer hen niet kon waarschuwen indien ze een fout gemaakt hadden. Als gevolg daarvan hebben de spirometers enkele onmogelijke longfunctiewaarden vastgelegd en konden onderzoekers niet de benodigde informatie krijgen om te achterhalen of pirfenidon een effect had op de longfunctie wanneer die thuis werd gemeten.



Gedetailleerde informatie over deze studie is terug te vinden op <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03099187>

Wie heeft er aan de studie deelgenomen?



Welke testen zijn er in de studie gebruikt?

Onderzoekers wilden weten hoeveel de resultaten van de volgende tests veranderden tussen de start van de studie en na 6 maanden

Longfunctie

Geforceerde vitale capaciteit
hoeveel lucht iemand kan uitademen na een zo diep mogelijke inademing

Elke dag thuis gemeten met een spirometer in zakformaat

Eenmaal per maand gemeten in het ziekenhuis

Diffusiecapaciteit voor koolmonoxide

om te meten hoe goed de longen van mensen zuurstof uit de lucht in het bloed konden overbrengen.

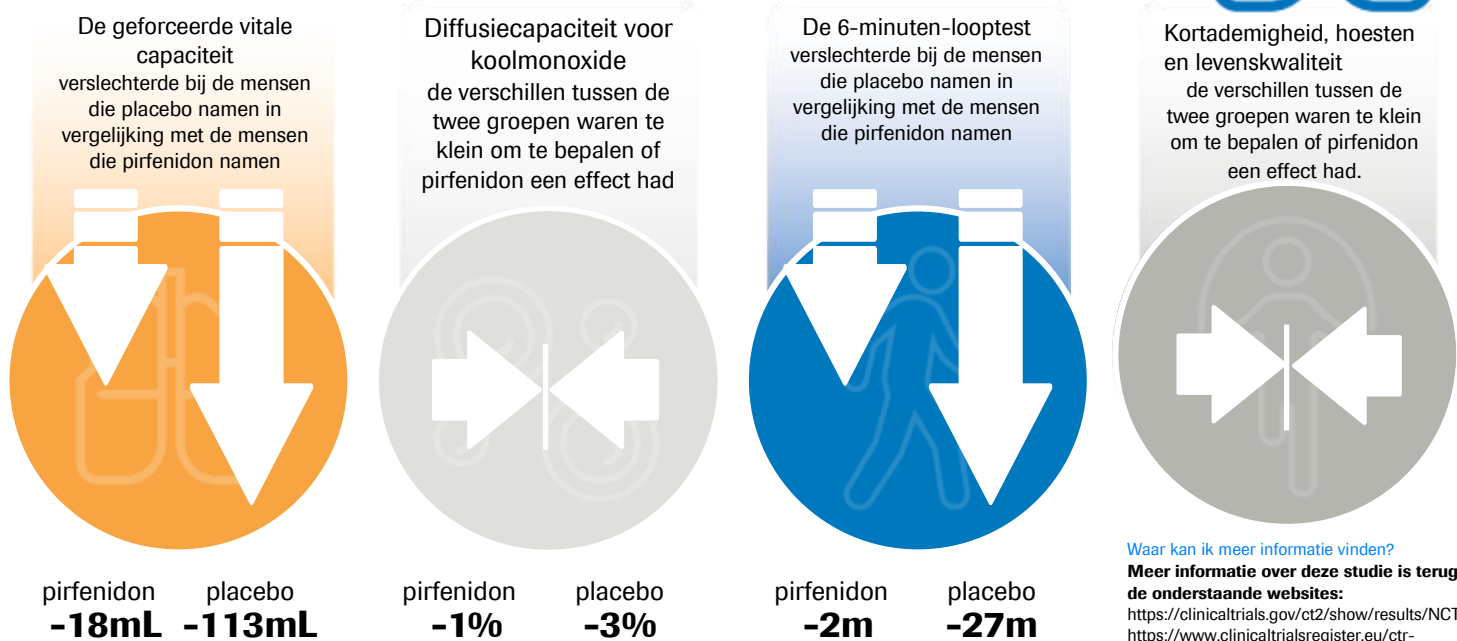
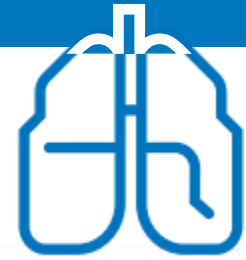
6-minuten-looptest
hoever mensen konden lopen in 6 minuten.

Mensen hebben vragenlijsten ingevuld om te meten hoe ze zich voelden bij hun symptomen (kortademigheid en hoesten) en over hun algemene welzijn (levenskwaliteit)

Andere testen

Wat zijn de belangrijkste resultaten van de studie?

De toestellen die mensen mee naar huis namen om de longfunctie te meten, waren zo ingesteld dat ze het beste werkten als er drie metingen per dag werden uitgevoerd. In deze studie hebben mensen hun longfunctie maar eenmaal per dag gemeten, waardoor de spirometer hen niet kon waarschuwen indien ze een fout gemaakt hadden. Als gevolg daarvan hebben de spirometers enkele onmogelijke longfunctiewaarden vastgelegd en konden onderzoekers niet de benodigde informatie krijgen om te achterhalen of pirfenidon een effect had op de longfunctie wanneer die thuis werd gemeten. De metingen die in het ziekenhuis werden uitgevoerd, werkten echter wel zoals verwacht:



Waar kan ik meer informatie vinden?

Meer informatie over deze studie is terug te vinden op de onderstaande websites:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03099187>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2016-002744-17>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>

Als u meer te weten wilt komen over de resultaten van deze studie, is dit de volledige titel van de relevante wetenschappelijke publicatie:

'Pirfenidone in patients with unclassifiable progressive fibrosing interstitial lung disease: a double-blind, randomised, placebo-controlled, phase 2 trial' (pirfenidon bij patiënten met niet-classificeerbare progressieve fibroserende interstitiële longziekte: een dubbelblinde, gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase 2-studie). De auteurs van de wetenschappelijke publicatie zijn: T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer en anderen. De publicatie is geplaatst in het tijdschrift *Lancet Respiratory Medicine*.

Als u na het lezen van deze samenvatting nog vragen hebt:

Surf naar het ForPatients-platform en vul het contactformulier in:

<https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>

Of neem contact op met een vertegenwoordiger bij uw plaatselijke vestiging van Roche.

Als u aan deze studie hebt deelgenomen en vragen hebt over de resultaten:

Spreek met de studiearts of het studiepersoneel in het studieziekenhuis of de studiekliniek.

Als u vragen hebt over uw eigen behandeling:

Spreek met de arts die verantwoordelijk is voor uw behandeling.

Zijn er plannen voor andere studies?

Op het moment van het schrijven zijn er geen andere studies met pirfenidon bij uILD gepland.

De studie is begonnen in mei 2017 en zal eindigen in januari 2020. Deze studie bestaat uit twee delen. In het eerste deel van de studie werd onderzocht hoe goed het studiegeneesmiddel werkte en hoe veilig dit geneesmiddel was. Het tweede deel van de studie is gericht op de veiligheid van dit geneesmiddel.

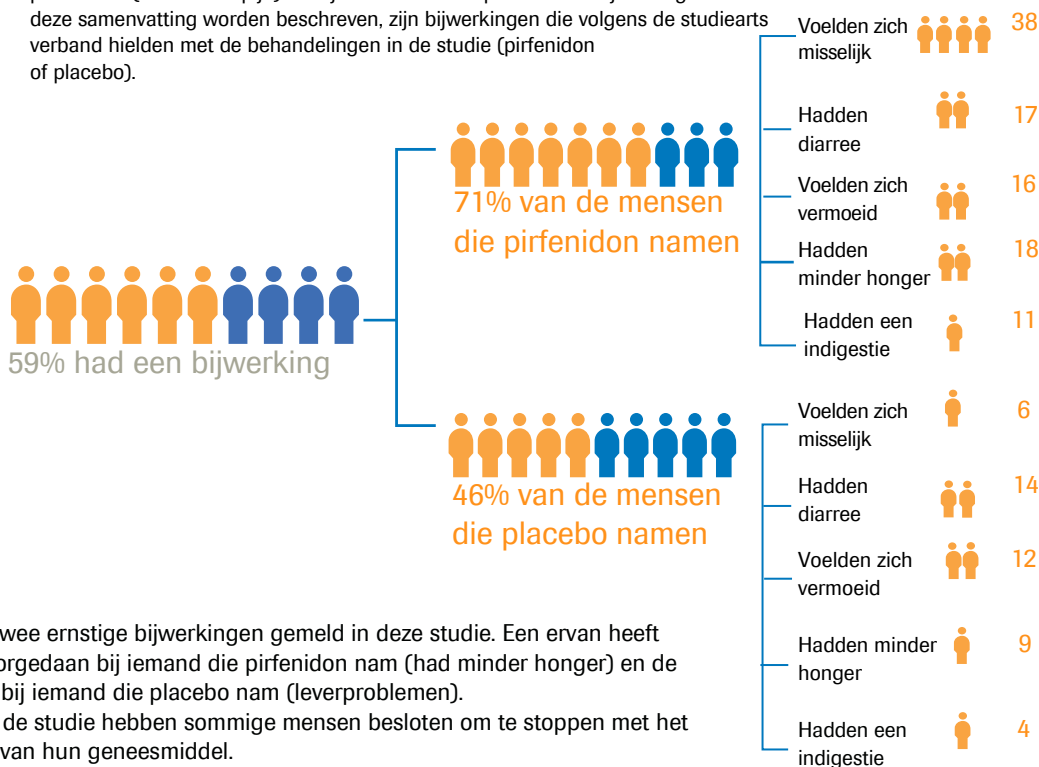
Deze samenvatting bevat de resultaten tot november 2018. In deze samenvatting worden de volledige resultaten van het eerste deel van de studie gepresenteerd. Op het moment van het schrijven van deze samenvatting vindt het tweede deel van de studie nog steeds plaats.

Wie heeft deze studie georganiseerd en betaald?

Deze studie is georganiseerd en betaald door F. Hoffmann-La Roche Ltd, met hoofdkantoor in Bazel, Zwitserland. Deze studie is aanvankelijk ontwikkeld als onderdeel van een klinisch-wetenschappelijke studiebeurs, gefinancierd door het NIHR, toegewezen aan professor Toby M. Maher (NIHR-referentie: CS-2013-13-017) en vervolgens aangepast na gesprekken met F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Waren er bijwerkingen?

Bijwerkingen, ook ongewenste effecten genoemd, zijn ongewenste medische problemen (zoals hoofdpijn) die tijdens de studie optreden. De bijwerkingen die in deze samenvatting worden beschreven, zijn bijwerkingen die volgens de studiearts verband hielden met de behandelingen in de studie (pirfenidon of placebo).



Er zijn twee ernstige bijwerkingen gemeld in deze studie. Een ervan heeft zich voorgedaan bij iemand die pirfenidon nam (had minder honger) en de andere bij iemand die placebo nam (leverproblemen).

Tijdens de studie hebben sommige mensen besloten om te stoppen met het nemen van hun geneesmiddel.

- In de groep met pirfenidon stopten 25 van de 127 mensen (20%) met het nemen van hun geneesmiddel; bij 16 van de 127 mensen (13%) had dit te maken met een bijwerking van het geneesmiddel.

- In de groep met placebo stopten 10 van de 124 mensen (8%) met het nemen van hun geneesmiddel; bij 1 van de 124 mensen (minder dan 1%) had dit te maken met een bijwerking van het geneesmiddel.