

Résultats d'essai clinique – Résumé à l'intention des personnes non initiées

Étude visant à évaluer l'efficacité de la pirfénidone chez des personnes atteintes d'une maladie pulmonaire interstitielle inclassable, ainsi que la sécurité d'emploi de ce médicament

Reportez-vous à la fin du résumé pour le titre complet de l'étude.

Table des matières du résumé

1. Informations générales concernant cette étude
2. Qui a participé à cette étude ?
3. Que s'est-il passé pendant l'étude ?
4. Quels ont été les résultats de l'étude ?
5. Quels ont été les effets secondaires ?
6. Comment cette étude a-t-elle contribué à la recherche ?
7. D'autres études sont-elles prévues ?
8. Où puis-je obtenir des informations supplémentaires ?
9. Glossaire
10. Résumé infographique

À propos de ce résumé

Ceci est un résumé des résultats d'un essai clinique (appelé « étude » dans ce document) rédigé pour :

- Le public en général ; et
- Les personnes ayant participé à l'étude.

Ce résumé est basé sur les informations connues au moment de sa rédaction (septembre 2019). Il se peut que des informations supplémentaires soient désormais disponibles.

L'étude a commencé en mai 2017 et se terminera en janvier 2020. Cette étude comporte deux parties. La première partie de l'étude a évalué l'efficacité du médicament de l'étude, ainsi que sa sécurité d'emploi. La deuxième partie de l'étude portera essentiellement sur la sécurité d'emploi de ce médicament.

Ce résumé comprend les résultats obtenus jusqu'au mois de novembre 2018. Il présente l'ensemble des résultats de la première partie de l'étude. La deuxième partie de l'étude est toujours en cours au moment de la rédaction de ce résumé.

Aucune étude ne peut fournir à elle seule toutes les informations sur les risques et bénéfices d'un médicament. De nombreux participants et de nombreuses études sont nécessaires pour obtenir toutes les informations dont nous avons besoin. Les résultats de cette étude peuvent être différents de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

C'est pourquoi vous ne devez pas prendre de décision uniquement sur la base de ce résumé ; consultez toujours votre médecin avant de prendre une quelconque décision en rapport avec votre traitement.

Merci aux personnes participant à cette étude

Les personnes participant à cette étude aident les chercheurs à répondre à des questions importantes sur la maladie pulmonaire interstitielle inclassable et la pirfénidone.

Informations clés concernant cette étude

- Cette étude a été menée afin de comparer la pirfénidone (le « médicament de l'étude ») à un placebo chez des personnes atteintes d'une maladie pulmonaire interstitielle inclassable.
- Dans cette étude, les participants ont reçu :
 - 801 mg de pirfénidone par voie orale trois fois par jour ; ou
 - un placebo.
- Le traitement qu'a reçu chaque participant a été décidé au hasard.
- Cette étude comporte deux parties. La première partie de l'étude a évalué l'efficacité de la pirfénidone, ainsi que sa sécurité d'emploi. La deuxième partie portera essentiellement sur la sécurité d'emploi de la pirfénidone.
 - Ce résumé présente les résultats de la première partie de l'étude. La
- Les dispositifs que les participants ont emportés chez eux pour mesurer leur fonction pulmonaire étaient configurés de façon à offrir un meilleur résultat en effectuant trois mesures par jour. Cependant, dans cette étude, les participants ont mesuré leur fonction pulmonaire une fois par jour ; le spiromètre ne pouvait donc pas les avertir s'ils faisaient une erreur.
 - En conséquence les spiromètres ont enregistré des valeurs de fonction pulmonaire impossibles et que les chercheurs n'ont pas pu obtenir les informations nécessaires pour déterminer si la pirfénidone avait un effet sur la fonction pulmonaire lorsque celle-ci était mesurée à domicile.
- Les tests de fonction pulmonaire réalisés à l'hôpital ont donné les résultats attendus et indiqué une aggravation de l'état des poumons des personnes ayant

deuxième partie de l'étude est toujours en cours au moment de la rédaction de ce résumé.

- Cette étude a inclus 253 personnes dans 14 pays.
 - Cette étude a testé une nouvelle façon de mesurer la fonction pulmonaire en demandant aux participants de mesurer eux-mêmes leur fonction pulmonaire chaque jour à domicile.
 - Cette étude a également mesuré la fonction pulmonaire lors de visites à l'hôpital.
- Moins de 1 % des participants (1 participant sur 127) prenant de la pirféridone ont présenté des effets secondaires graves. Moins de 1 % des participants (1 participant sur 124) prenant le placebo ont présenté des effets secondaires graves.

pris un placebo sur une période de 6 mois par rapport à celles qui prenaient de la pirféridone.

1. Informations générales concernant cette étude

Pourquoi cette étude a-t-elle été menée ?

La maladie pulmonaire interstitielle (MPI) se caractérise par une cicatrisation des poumons et des difficultés à respirer. Il existe de nombreux types différents de MPI. On parle de MPI inclassable (MPIi) lorsque les médecins ne sont pas certains du type de MPI dont une personne est atteinte.

Il n'existe pas de médicaments pour traiter les personnes atteintes de MPIi.

Le médicament « pirféridone » aide les personnes atteintes d'un type de MPI appelé fibrose pulmonaire idiopathique (FPI). La FIP et certains types de MPIi présentent de nombreuses similitudes. Les chercheurs souhaitaient savoir si la pirféridone pouvait également être efficace chez les personnes atteintes de MPIi.

Quel était le médicament de l'étude ?

Cette étude portait essentiellement sur un médicament appelé « pirféridone » (Esbriet®).

- La pirféridone agit en ralentissant la cicatrisation (fibrose) des poumons chez les personnes atteintes de FPI.
- Par conséquent, la pirféridone pourrait également ralentir la cicatrisation des poumons chez les personnes atteintes de MPIi.

La pirféridone a été comparée à un « placebo ».

- Ce mot est prononcé « pla - sé - bo ».
- Les gélules de placebo étaient identiques à celles de pirféridone, mais ne contenaient pas de vrai médicament. Autrement dit, elles n'avaient pas d'effet médical sur le corps.

- Les chercheurs ont comparé la pirféridone à un placebo afin de démontrer quels bénéfices ou quels effets secondaires sont réellement associés à la pirféridone.

Qu'est-ce que les chercheurs souhaitent découvrir ?

- Les chercheurs ont mené cette étude pour comparer la pirféridone à un placebo afin de déterminer l'efficacité du médicament de l'étude (voir section 4 « Quels ont été les résultats de l'étude ? »).
- Ils voulaient également déterminer la sécurité d'emploi du médicament en vérifiant le nombre de personnes ayant présenté des effets secondaires lors de l'administration de la pirféridone ou du placebo pendant cette étude (voir section 5 « Quels ont été les effets secondaires ? »).

La question principale à laquelle les chercheurs souhaitent répondre était la suivante :

1. La pirféridone a-t-elle un effet sur le déclin de la fonction pulmonaire mesurée chaque jour à domicile sur une période de 6 mois ?

Les chercheurs souhaitent également répondre à d'autres questions, notamment :

2. La pirféridone a-t-elle un effet sur le déclin de la fonction pulmonaire mesurée sur une période de 6 mois lors de visites à l'hôpital ?
3. La pirféridone a-t-elle eu un effet sur la distance que les participants à l'étude ont été capables de parcourir en marchant pendant 6 minutes ?
4. Les participants à l'étude ont-ils eu l'impression que la pirféridone soulageait leurs symptômes ?

De quel type d'étude s'agissait-il ?

Il s'agissait d'une étude de « phase II ». Cela veut dire que la pirféridone avait déjà été testée chez un certain nombre de personnes avant cette étude, mais il s'agissait de la première étude menée auprès de personnes atteintes de MPLi.

Il s'agissait d'une étude « randomisée ». Cela veut dire que la décision d'administrer de la pirféridone à tels ou tels participants à l'étude a été prise au hasard, comme à pile ou face. Dans cette étude, les personnes atteintes de MPLi ont pris soit de la pirféridone, soit un placebo.

Il s'agissait d'une étude « en double aveugle ». Cela veut dire que ni les participants à l'étude ni les médecins de l'étude ne savaient qui prenait de la pirféridone.

Une étude est menée « en aveugle » pour éviter que les effets éventuels du médicament ne soient dus aux attentes des participants (s'ils avaient su quel médicament ils prenaient).

Quand et où l'étude s'est-elle déroulée ?

L'étude a commencé en mai 2017 et se terminera en janvier 2020. Cette étude comporte deux parties. La première partie de l'étude a évalué l'efficacité du médicament de l'étude, ainsi que sa sécurité d'emploi. La deuxième partie de l'étude portera essentiellement sur la sécurité d'emploi de ce médicament.

Ce résumé comprend les résultats obtenus jusqu'au mois de novembre 2018. Il présente l'ensemble des résultats de la première partie de l'étude. La deuxième partie de l'étude est toujours en cours au moment de la rédaction de ce résumé.

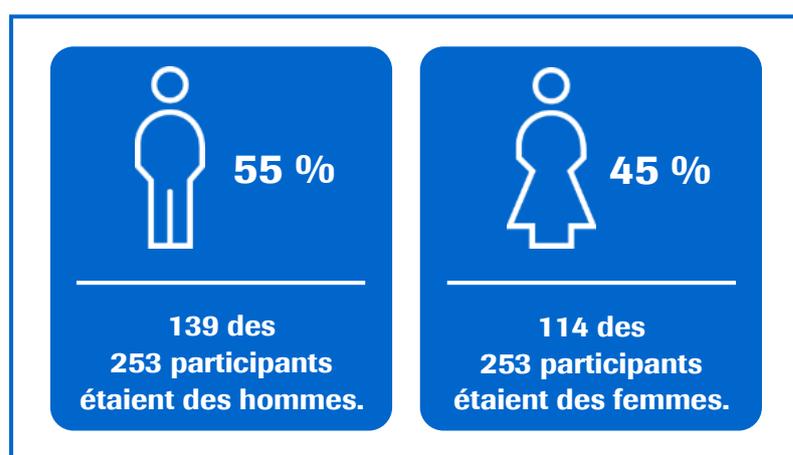
L'étude s'est déroulée dans 70 centres d'étude situés dans 14 pays. La carte suivante indique les pays dans lesquels l'étude a été menée.

Australie
Belgique
Canada
République tchèque
Danemark
Allemagne
Grèce
Irlande
Israël
Italie
Pologne
Portugal
Espagne
Royaume-Uni



2. Qui a participé à cette étude ?

253 adultes atteints de MPI ont participé à cette étude.



Pour pouvoir participer à l'étude, les patients devaient répondre aux critères suivants :

- Présenter une aggravation de leur MPLi ;
- Présenter une cicatrisation de plus de 10 % du tissu pulmonaire (fibrose) ;
- Présenter une fonction pulmonaire correspondant à au moins 45 % de la valeur normale d'une personne en bonne santé du même âge et du même sexe.

Les patients ne pouvaient pas participer à l'étude s'ils répondaient aux critères suivants :

- Présenter d'autres problèmes de santé graves ;
- Prendre certains médicaments ;
- Fumer ou avoir arrêté de fumer au cours des 3 derniers mois.

3. Que s'est-il passé pendant l'étude ?

Pendant l'étude, les participants ont été sélectionnés au hasard pour recevoir l'un des deux traitements. Les traitements ont été attribués de manière aléatoire par ordinateur.

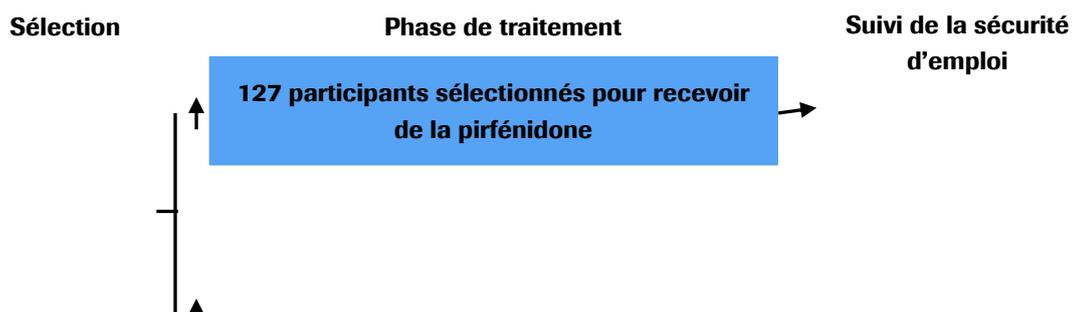
Les participants à l'étude ont pris leur traitement pendant 6 mois. Ils se sont rendus à l'hôpital une fois par mois durant 6 mois pendant qu'ils prenaient le traitement. Cette partie de l'étude correspond à la phase de traitement.

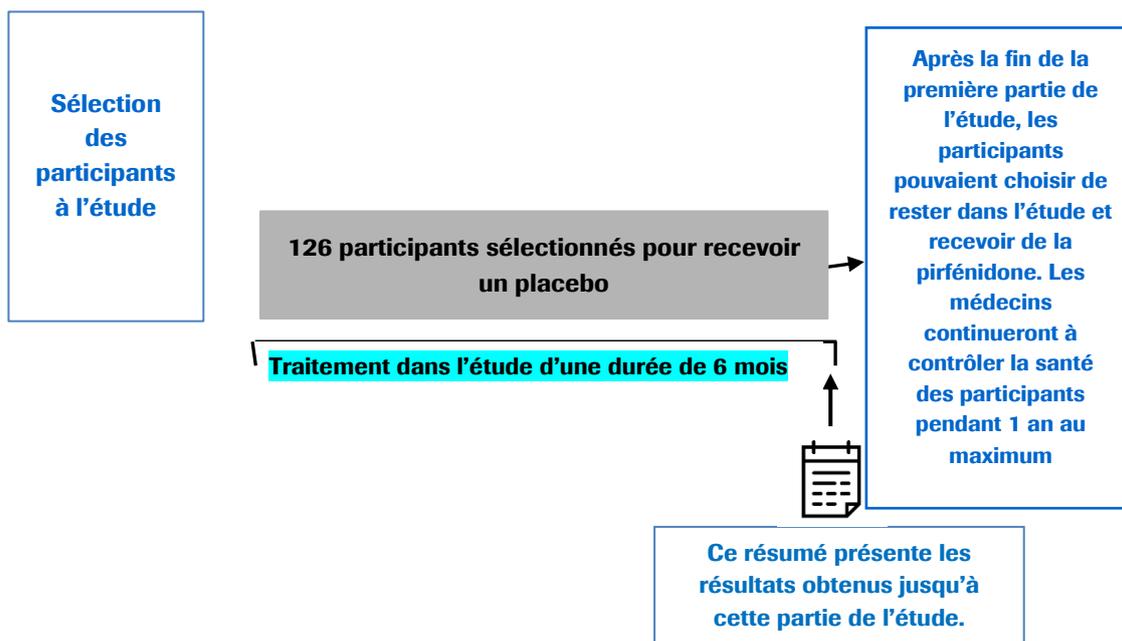
Les groupes de traitement étaient les suivants :

- **Pirfénidone** (le médicament de l'étude) à raison de 801 milligrammes (801 mg) par voie orale, 3 fois par jour
- **Placebo** par voie orale 3 fois par jour

Après 6 mois, les participants à l'étude ont su s'ils avaient pris de la pirfénidone ou un placebo pendant la phase de traitement. Ils pouvaient ensuite choisir de participer à la deuxième partie de l'étude. La deuxième partie de l'étude est appelée suivi de la sécurité d'emploi. Les participants ayant pris de la pirfénidone lors de la phase de traitement ont continué à en prendre pendant le suivi de la sécurité d'emploi. Les participants ayant pris un placebo lors de la phase de traitement sont passés à la pirfénidone pendant le suivi de la sécurité d'emploi. Le suivi de la sécurité d'emploi étant toujours en cours, des participants sont encore traités par pirfénidone actuellement.

Ce résumé présente les résultats de la phase de traitement de l'étude. Vous trouverez ci-dessous plus d'informations concernant le déroulement de l'étude.





4. Quels ont été les résultats de l'étude ?

Question 1 : La pirféridone a-t-elle un effet sur le déclin de la fonction pulmonaire mesurée chaque jour à domicile sur une période de 6 mois ?

Les participants à cette étude ont reçu un dispositif (un spiromètre) à emporter chez eux. Ce spiromètre permettait de mesurer la quantité d'air que les participants étaient capables d'expulser après avoir inspiré le plus profondément possible (capacité vitale forcée). Tous les participants ont mesuré leur capacité vitale forcée chaque jour à domicile.

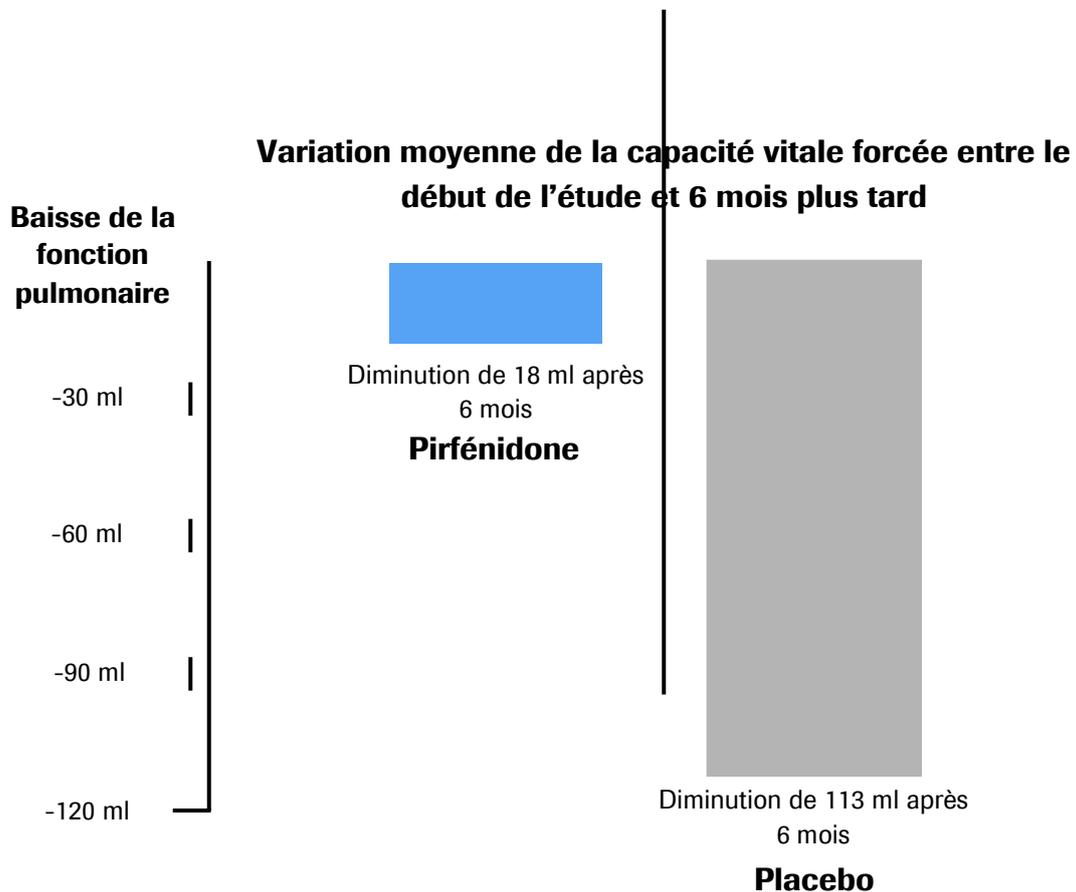
- Les dispositifs que les participants ont emportés chez eux pour mesurer leur fonction pulmonaire étaient configurés de façon à offrir un meilleur résultat en effectuant trois mesures par jour. Cependant, dans cette étude, les participants ont mesuré leur fonction pulmonaire une fois par jour ; le spiromètre ne pouvait donc pas les avertir s'ils faisaient une erreur.
- En conséquence les spiromètres ont enregistré des valeurs de ponction pulmonaire impossibles et que les chercheurs n'ont pas pu obtenir les informations nécessaires pour déterminer si la pirféridone avait un effet sur la fonction pulmonaire lorsque celle-ci était mesurée à domicile.

Question 2 : La pirféridone a-t-elle eu un effet sur le déclin de la fonction pulmonaire mesurée sur une période de 6 mois lors de visites à l'hôpital ?

Les chercheurs ont également utilisé la méthode habituelle (capacité vitale forcée) pour mesurer la fonction pulmonaire à l'hôpital. Les participants se sont rendus à l'hôpital une fois par mois pendant 6 mois pour mesurer leur fonction pulmonaire.

Les chercheurs voulaient déterminer la variation de la capacité vitale forcée entre le début de l'étude et 6 mois plus tard. Ils ont comparé les variations entre le groupe de la pirféridone et celui du placebo pour savoir s'il y avait une différence.

- La fonction pulmonaire a diminué dans les deux groupes.
- La diminution de la fonction pulmonaire était plus importante dans le groupe des participants ayant pris le placebo que dans celui des participants traités par pirféridone.

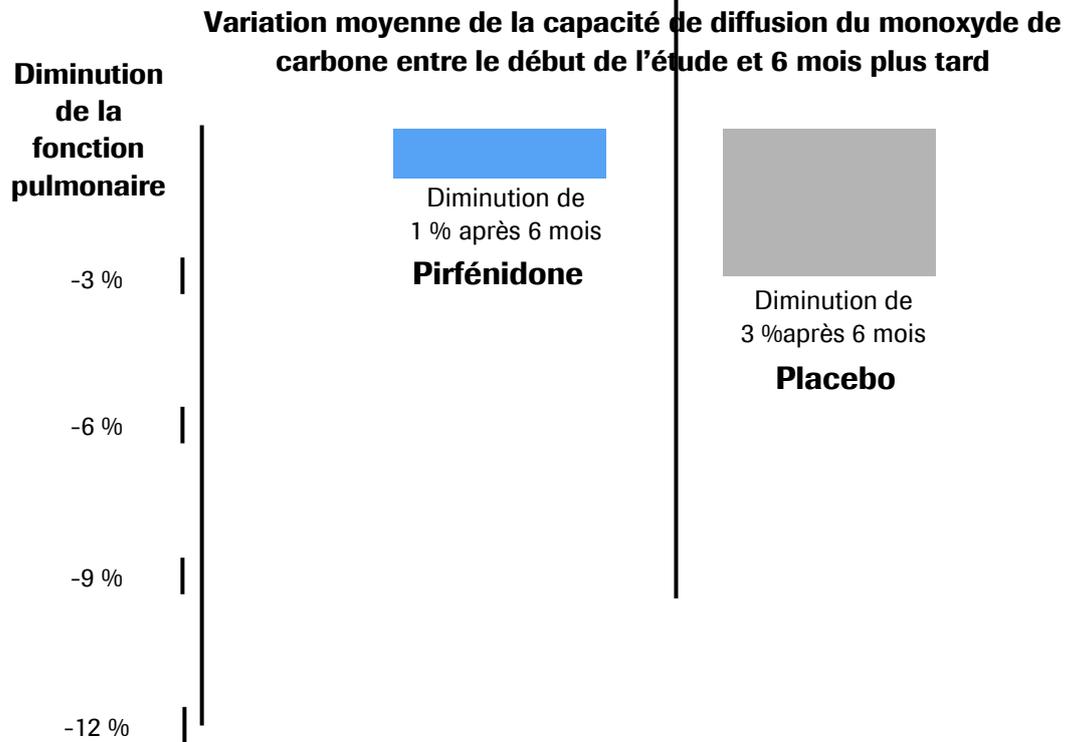


La capacité vitale forcée n'est pas la seule façon de mesurer la fonction pulmonaire. Les chercheurs ont mesuré l'efficacité avec laquelle les poumons des participants transportaient l'oxygène dans le sang (capacité de diffusion du monoxyde de carbone). Les résultats ont été présentés sous forme d'un pourcentage de la valeur normale d'une personne en bonne santé du même âge et du même sexe. Par exemple, lorsque les poumons d'une personne atteinte de MPlI transportaient l'oxygène deux fois moins bien que ceux d'une personne sans MPlI, la capacité de diffusion du monoxyde de carbone qui leur était attribuée était de 50 %.

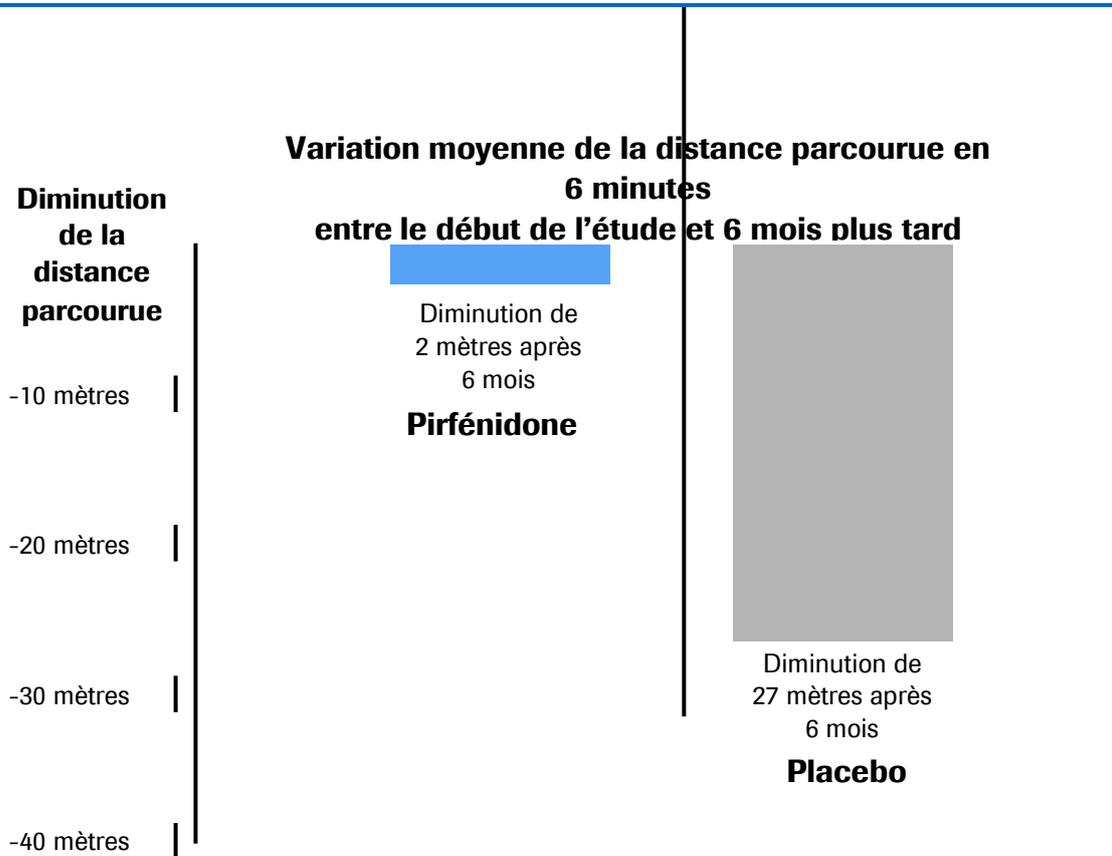
Les chercheurs voulaient déterminer la variation de la capacité de diffusion du monoxyde de carbone entre le début de l'étude et 6 plus tard. Ils ont comparé les variations entre le groupe de la pirféridone et celui du placebo pour savoir s'il y avait une différence.

- La capacité de diffusion du monoxyde de carbone a diminué dans les deux groupes.

- Les différences observées entre les deux groupes étaient trop faibles pour déterminer si la pirféridone avait un effet sur la capacité de diffusion du monoxyde de carbone.



Question 3 : La pirfénidone a-t-elle eu un effet sur la distance que les participants à l'étude ont été capables de parcourir en marchant pendant 6 minutes ?



Les chercheurs ont également examiné la distance que les participants pouvaient parcourir en 6 minutes : distance de marche en 6 minutes. Ils se sont intéressés à la distance parcourue en 6 minutes, car les personnes atteintes de MPI peuvent s'essouffler rapidement et avoir des difficultés à marcher aussi loin qu'ils en avaient l'habitude.

Les chercheurs voulaient savoir dans quelle mesure la distance parcourue en 6 minutes avait varié entre le début de l'étude et 6 mois plus tard. Ils ont comparé les variations entre le groupe de la pirfénidone et celui du placebo pour savoir s'il y avait une différence.

- La distance de marche en 6 minutes a diminué dans les deux groupes.
- La diminution de la distance parcourue était plus importante dans le groupe des participants ayant pris le placebo que dans celui des participants traités par pirfénidone.

Question 4 : Les participants atteints de MPI ont-ils eu l'impression que la pirfénidone soulageait leurs symptômes ?

Les symptômes de MPI ne peuvent pas être éliminés, mais certains traitements peuvent aider à réduire leur impact sur la vie quotidienne. Les chercheurs ont demandé aux

participants à l'étude de remplir une série de questionnaires portant sur l'essoufflement et la toux. Ils ont également posé des questions aux participants sur leur bien-être en général, ou qualité de vie. Les chercheurs se sont intéressés au bien-être, car les personnes atteintes de MPI peuvent se sentir déprimées ou limitées par leurs symptômes.

- Les réponses fournies par les personnes dans le groupe de la pirfénidone étaient semblables à celles des personnes dans le groupe du placebo.
- Les différences entre les deux groupes étaient trop faibles pour déterminer si la pirfénidone avait un effet sur l'essoufflement, la toux ou la qualité de vie.

5. Quels ont été les effets secondaires ?

Les effets secondaires, également appelés « réactions indésirables », sont des problèmes médicaux indésirables (comme des maux de tête) qui surviennent pendant l'étude.

- Ils sont décrits dans ce résumé, car le médecin de l'étude pense que ces effets secondaires étaient liés aux traitements de l'étude (pirfénidone ou placebo). Les effets secondaires pouvaient être considérés comme étant liés au placebo, car les médecins de l'étude ne savaient pas si les participants prenaient de la pirfénidone ou un placebo.
- Les participants à cette étude n'ont pas tous présenté tous ces effets secondaires.

Les effets secondaires graves et fréquents sont mentionnés dans les sections suivantes :

Effets secondaires graves

Effet secondaire mettant la vie en danger, nécessitant des soins hospitaliers ou provoquant des problèmes durables.

Pendant cette étude, moins de 1 personne sur 100 (moins de 1 %) a présenté au moins un effet secondaire grave. Moins de 1 % des participants prenant de la pirfénidone ont présenté des effets secondaires graves. Moins de 1 % des participants prenant le placebo ont présenté des effets secondaires graves.

Deux effets secondaires graves ont été signalés dans cette étude. L'un est survenu chez un participant prenant de la pirfénidone, et l'autre chez un participant prenant le placebo.

	Participants prenant de la pirfénidone (127 personnes au total)	Participants prenant un placebo (124 personnes au total)
Effets secondaires graves signalés dans cette étude	Diminution de l'appétit Moins de 1 % (1 personne sur 127)	Problèmes au foie Moins de 1 % (1 personne sur 124)

Personne dans cette étude n'est décédé en raison d'effets secondaires pouvant être liés à l'un des médicaments de l'étude.

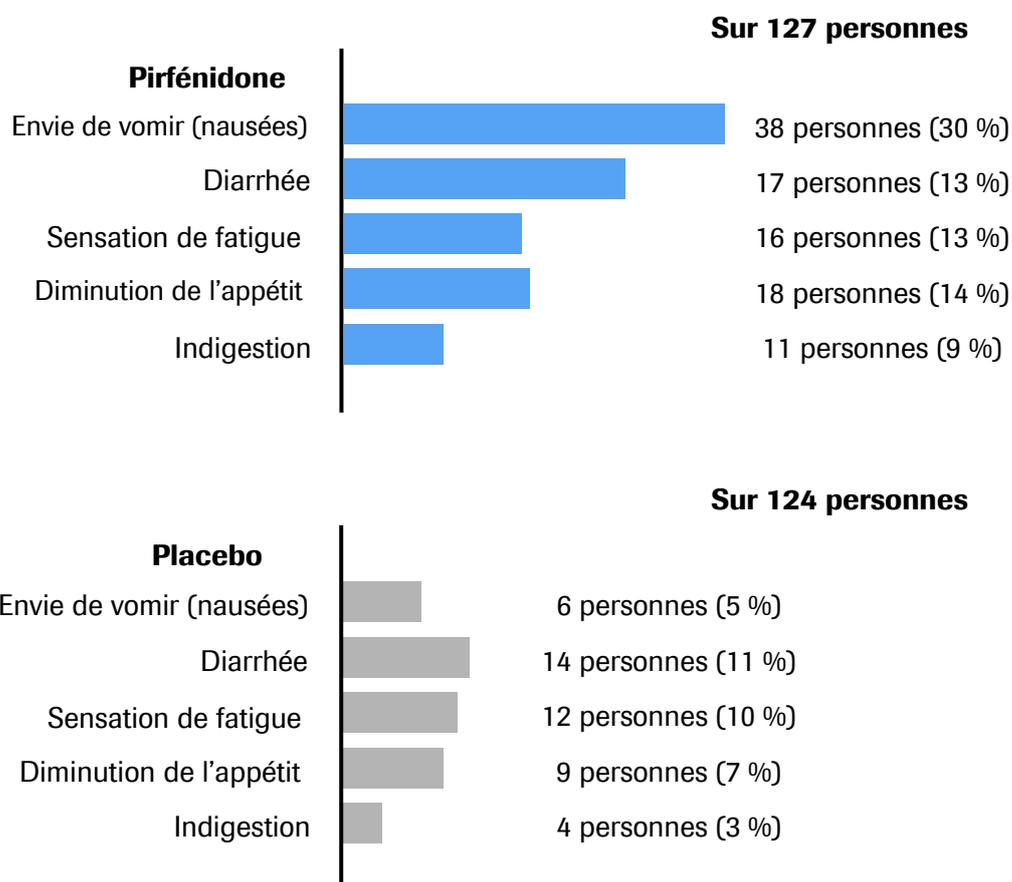
Pendant l'étude, certains participants ont décidé d'arrêter de prendre leur médicament :

- Dans le groupe de la pirfénidone, 25 personnes sur 127 (20 %) ont arrêté de prendre leur médicament ; chez 16 personnes sur 127 (13 %), cet arrêt était dû à un effet secondaire lié au médicament.
- Dans le groupe du placebo, 10 personnes sur 124 (8 %) ont arrêté de prendre leur médicament ; chez 1 personne sur 124 (moins de 1 %), cet arrêt était dû à un effet secondaire lié au médicament.

Effets secondaires les plus fréquents

Pendant cette étude, près de 60 personnes sur 100 (59 %) ont présenté un effet secondaire. Environ 71 % de personnes prenant de la pirfénidone ont présenté un effet secondaire, contre 46 % des personnes prenant un placebo.

Les effets secondaires les plus fréquents sont indiqués dans le tableau suivant ; il s'agit des cinq effets secondaires les plus fréquents parmi toutes les personnes ayant participé à l'étude.



Autres effets secondaires

Vous trouverez des informations concernant les autres effets secondaires (non repris dans la section ci-dessus) sur les sites Internet mentionnés à la fin de ce résumé (voir section 8).

6. Comment cette étude a-t-elle contribué à la recherche ?

Les informations présentées ici sont tirées d'une seule étude menée auprès de 253 personnes atteintes de MPLi. Ces résultats ont permis aux chercheurs d'en apprendre davantage sur la MPLi et la pirféridone.

Cette étude a testé une nouvelle façon de mesurer la fonction pulmonaire en demandant aux participants de mesurer eux-mêmes leur fonction pulmonaire chaque jour à domicile. Toutefois, les dispositifs que les participants ont emportés chez eux pour mesurer leur fonction pulmonaire étaient configurés de façon à offrir un meilleur résultat en effectuant trois mesures par jour. Par contre, dans cette étude, les participants ont mesuré leur fonction pulmonaire une fois par jour ; le spiromètre ne pouvait donc pas les avertir s'ils faisaient une erreur. En conséquence les spiromètres ont enregistré des valeurs de ponction pulmonaire impossibles et que les chercheurs n'ont pas pu obtenir les informations nécessaires pour déterminer si la pirféridone avait un effet sur la fonction pulmonaire lorsque celle-ci était mesurée à domicile. Les chercheurs vont donc devoir trouver la manière de configurer les dispositifs afin d'éviter que le même problème se répète lors de futures études cliniques.

Les participants à l'étude se sont également rendus à des visites à l'hôpital pour mesurer leur fonction pulmonaire et la distance qu'ils pouvaient parcourir en 6 minutes. Bien que la capacité vitale forcée et la distance de marche en 6 minutes aient diminué à la fois dans le groupe de pirféridone et dans celui du placebo, cette diminution était plus importante chez les personnes prenant le placebo que chez celles traitées par pirféridone.

Les chercheurs ont mesuré l'efficacité avec laquelle les poumons des participants transportaient l'oxygène dans le sang (capacité de diffusion du monoxyde de carbone). La capacité de diffusion du monoxyde de carbone a diminué dans les deux groupes de traitement. Les différences observées entre les deux groupes étaient trop faibles pour déterminer si la pirféridone avait un effet sur la capacité de diffusion du monoxyde de carbone.

Les participants à l'étude ont rempli des questionnaires portant sur l'essoufflement, la toux et le bien-être général (qualité de vie). Les réponses fournies par les personnes dans le groupe de la pirféridone étaient semblables à celles des personnes dans le groupe du placebo. Les différences entre les deux groupes étaient trop faibles pour déterminer si la pirféridone avait un effet sur l'essoufflement, la toux ou la qualité de vie.

Les chercheurs ont également examiné les problèmes médicaux que les participants ont présentés pendant l'étude. Moins de 1 % des participants prenant de la pirféridone ont présenté un effet secondaire grave. Environ 71 % de personnes prenant de la pirféridone ont présenté un effet secondaire, contre 46 % des personnes prenant un placebo.

Aucune étude ne peut fournir à elle seule toutes les informations sur les risques et bénéfices d'un médicament. De nombreux participants et de nombreuses études sont nécessaires pour obtenir toutes les informations dont nous avons besoin. Les résultats de cette étude peuvent être différents de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

- C'est pourquoi, vous ne devez pas prendre de décision uniquement sur la base de ce résumé ; consultez toujours votre médecin avant de prendre une quelconque décision en rapport avec votre traitement.

7. D'autres études sont-elles prévues ?

Au moment de la rédaction de ce résumé, aucune nouvelle étude évaluant la pirfénidone dans la MPLi n'est prévue.

L'étude a commencé en mai 2017 et se terminera en janvier 2020. Cette étude comporte deux parties. La première partie de l'étude a évalué l'efficacité du médicament de l'étude, ainsi que sa sécurité d'emploi. La deuxième partie de l'étude portera essentiellement sur la sécurité d'emploi de ce médicament.

Ce résumé comprend les résultats obtenus jusqu'au mois de novembre 2018. Il présente les résultats complets de la première partie de l'étude. La deuxième partie de l'étude est toujours en cours au moment de la rédaction de ce résumé.

8. Où puis-je obtenir des informations supplémentaires ?

Vous trouverez des informations supplémentaires concernant cette étude sur les sites Internet indiqués ci-dessous :

- <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>

Si vous souhaitez en savoir plus sur les résultats de cette étude, le titre complet de l'article scientifique en question est le suivant : « La pirfénidone chez des patients atteints de maladie pulmonaire interstitielle fibrosante, progressive et inclassable : une étude de phase II, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo ». Les auteurs de cet article scientifique sont les suivants : T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer et d'autres. Cet article est paru dans la revue *Lancet Respiratory Medicine*.

À qui m'adresser en cas de questions concernant cette étude ?

Si vous avez d'autres questions après avoir lu ce résumé :

- Consultez la plateforme ForPatients et remplissez le formulaire de contact suivant : <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html> ;
- Contactez un représentant de votre bureau local Roche.

Si vous avez participé à cette étude et avez des questions au sujet des résultats :

- Adressez-vous au médecin ou personnel de l'étude de l'hôpital ou de la clinique de l'étude.

Si vous avez des questions concernant votre propre traitement :

- Adressez-vous au médecin responsable de votre traitement.

Qui a organisé et financé cette étude ?

L'étude a été organisée et financée par F. Hoffmann-La Roche Ltd, dont le siège se situe à Bâle, en Suisse. Cette étude avait initialement été conçue dans le cadre d'une bourse de recherche clinique de l'Institut national de recherche en santé du Royaume-Uni (National Institute for Health Research, NIHR) attribuée au Professeur Toby M. Maher (Réf NIHR : CS-2013-13-017). Elle a ensuite été adaptée à l'issue de discussions avec F. Hoffmann-La Roche, Ltd.

Titre complet de l'étude et autres informations d'identification

Le titre complet de l'étude est le suivant : « Étude de phase II, multicentrique, internationale, en double aveugle, à deux bras, randomisée, contrôlée par placebo, évaluant la pirféridone chez des patients atteints de maladie pulmonaire interstitielle (MPI) fibrosante progressive inclassable ».

- Le numéro de protocole de cette étude est : MA39189.
- L'identifiant ClinicalTrials.gov de cette étude est : NCT03099187.
- Le numéro EudraCT de cette étude est : 2016-002744-17.

9. Glossaire

Capacité de diffusion du monoxyde de carbone	Efficacité des poumons d'une personne pour transporter l'oxygène de l'air dans le sang
Capacité vitale forcée	Quantité d'air qu'une personne est capable d'expulser après avoir inspiré aussi profondément que possible
Double aveugle	<p>Certains essais cliniques comprennent plus d'un traitement faisant l'objet de comparaison par les chercheurs. De nombreux essais cliniques comprennent par exemple :</p> <ul style="list-style-type: none">• Un médicament de l'étude• Un placebo <p>Une étude menée « en double aveugle » signifie que ni les participants à cette étude ni les médecins de l'étude ne savent qui prend le médicament de l'étude et qui prend le placebo</p>
Effets secondaires	Problèmes médicaux indésirables survenant après la prise d'un médicament
Effets secondaires graves	Effet secondaire mettant la vie en danger, nécessitant des soins hospitaliers ou provoquant des problèmes durables
Essai clinique	<p>Un essai (ou une étude) clinique est une évaluation dans laquelle des chercheurs administrent un médicament à un groupe de personnes</p> <p>Les chercheurs suivent régulièrement les personnes prenant le médicament et effectuent des examens médicaux</p> <p>Les essais cliniques cherchent à déterminer si un nouveau médicament est sans danger, s'il a des effets secondaires et s'il est plus efficace que le médicament utilisé actuellement, et s'il aide les personnes à se sentir mieux</p>
Étude de phase II	<p>Les études de phase II ont lieu après qu'un médicament ait été testé chez des personnes n'ayant pas de problèmes de santé</p> <p>Une étude de phase II cherche à démontrer que le médicament apporte un bénéfice</p>

	r�el aux personnes ayant de probl�emes de sant�
Fatigue	Sensation de fatigue
Fibrose	Cicatrisation
Fibrose pulmonaire idiopathique (FPI)	Maladie caract�ris�e par une cicatrisation des poumons et des difficult�s � respirer La fibrose pulmonaire idiopathique est un type de maladie pulmonaire interstitielle
Fonction pulmonaire	Degr� de bon fonctionnement des poumons
Maladie pulmonaire interstitielle (MPI)	Groupe de maladies caract�ris�es par une cicatrisation des poumons et des difficult�s � respirer
Maladie pulmonaire interstitielle inclassable (MPIi)	Maladie pulmonaire interstitielle dont le type ne peut pas �tre identifi� avec exactitude par les m�decins
Naus�es	Envie de vomir
Pirf�nidone (Esbriet [®])	M�dicament utilis� pour traiter les personnes atteintes de fibrose pulmonaire idiopathique La pirf�nidone agit en ralentissant la cicatrisation (fibrose) des poumons chez les personnes atteintes de fibrose pulmonaire idiopathique
Placebo	Traitement d'un essai clinique ne contenant pas de vrai m�dicament Les participants � l'essai clinique re�oivent soit : <ul style="list-style-type: none"> • Le vrai m�dicament de l'�tude • Un placebo ayant le m�me aspect que le m�dicament de l'�tude Les placebos permettent aux chercheurs de montrer les b�n�fices ou les effets secondaires qui sont caus�s par le m�dicament
Qualit� de vie	Bien-�tre g�n�ral
Randomis�	Certains essais cliniques comprennent plus d'un traitement faisant l'objet de comparaison par les chercheurs. De nombreux essais cliniques comprennent par exemple : <ul style="list-style-type: none"> • Un m�dicament de l'�tude

-
- Un placebo

On entend par randomisation que le traitement administré à chaque participant à l'étude a été sélectionné au hasard, par ordinateur

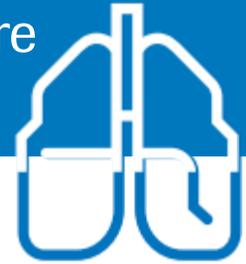
Spiromètre

Dispositif servant à mesurer la capacité vitale forcée (fonction pulmonaire)

Test de marche de 6 minutes

Distance qu'une personne est capable de parcourir en marchant pendant 6 minutes sur une surface plane

Étude de la pirfénidone dans la maladie pulmonaire interstitielle inclassable



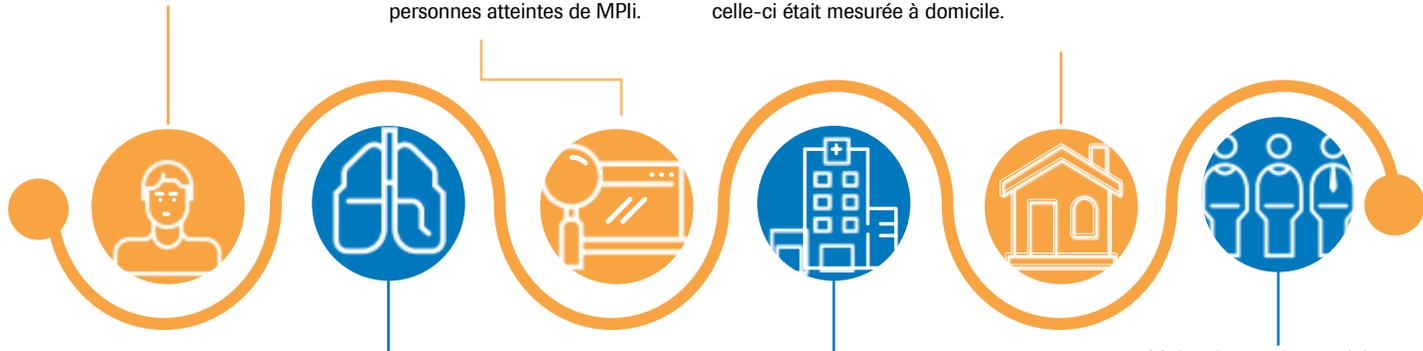
Ceci est un résumé des résultats d'une étude clinique rédigé en septembre 2019 à l'intention des membres du public et des personnes ayant participé à l'étude. Aucune étude ne peut fournir à elle seule toutes les informations sur les risques et bénéfices d'un médicament. De nombreux participants et de nombreuses études sont nécessaires pour obtenir toutes les informations dont nous avons besoin. Les résultats de cette étude peuvent être différents de ceux d'autres études portant sur le même médicament. C'est pourquoi vous ne devez pas prendre de décision uniquement sur la base de ce résumé ; consultez toujours votre médecin avant de prendre une quelconque décision en rapport avec votre traitement.

Résumé de l'étude

Cette étude a été menée pour déterminer si la pirfénidone pouvait aider les personnes atteintes d'une maladie pulmonaire interstitielle inclassable (MPIi) en comparant les effets de la pirfénidone à un placebo.

La pirfénidone permet d'aider les personnes atteintes d'un type de MPI appelé fibrose pulmonaire idiopathique (FPI). La FIP et certains types de MPIi présentent de nombreuses similitudes. Les chercheurs souhaitent savoir si la pirfénidone pouvait également être efficace chez les personnes atteintes de MPIi.

Cette étude a également testé une nouvelle façon de mesurer la fonction pulmonaire en demandant aux participants de mesurer eux-mêmes leur fonction pulmonaire chaque jour à domicile. Toutefois, les dispositifs que les participants ont emportés chez eux pour mesurer leur fonction pulmonaire étaient configurés de façon à offrir un meilleur résultat en effectuant trois mesures par jour. Cependant, dans cette étude, les participants ont mesuré leur fonction pulmonaire une fois par jour ; le spiromètre ne pouvait donc pas les avertir s'ils faisaient une erreur. En conséquence les spiromètres ont enregistré des valeurs de ponction pulmonaire impossibles et que les chercheurs n'ont pas pu obtenir les informations nécessaires pour déterminer si la pirfénidone avait un effet sur la fonction pulmonaire lorsque celle-ci était mesurée à domicile.



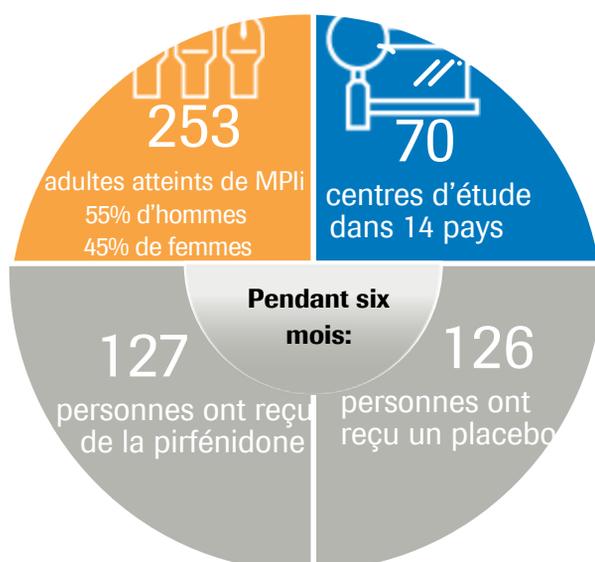
Les maladies pulmonaires interstitielles (MPI) sont des maladies qui se caractérisent par une cicatrisation des poumons et des difficultés à respirer. On parle de MPI inclassable (MPIi) lorsque les médecins ne sont pas certains du type de MPI dont une personne est atteinte.

Pendant l'étude, la fonction pulmonaire des participants a été mesurée chaque mois à l'hôpital. Ces tests ont indiqué une aggravation de l'état des poumons des personnes ayant pris un placebo sur une période de 6 mois par rapport à celles qui prenaient de la pirfénidone.

Moins de 1 % des participants (1 participant sur 127) prenant de la pirfénidone ont présenté des effets secondaires graves. Moins de 1 % des participants (1 participant sur 124) prenant le placebo ont présenté des effets secondaires graves.

De plus amples informations concernant cette étude sont disponibles sur le site <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03099187>

Qui a participé à l'étude ?



Quels tests ont été utilisés dans le cadre de l'étude ?

Les chercheurs ont voulu savoir dans quelle mesure les résultats des tests suivants avaient changé entre le début de l'étude et après 6 mois.

Fonction pulmonaire

Capacité vitale forcée
quantité d'air qu'une personne est capable d'expulser après avoir inspiré aussi profondément que possible.

Mesuré à la maison tous les jours à l'aide de spiromètres à main

Mesuré à l'hôpital une fois par mois

Capacité de diffusion du monoxyde de carbone
mesure de l'efficacité avec laquelle les poumons des participants transportaient l'oxygène dans le sang.

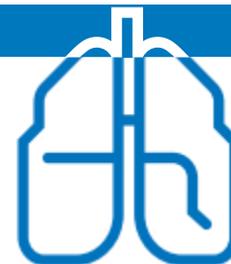
Distance de marche en 6 minutes
distance pouvant être parcourue par les participants en 6 minutes.

Remplissage par les participants de questionnaires visant à évaluer leurs symptômes (essoufflement et toux) et leur bien-être en général (qualité de vie).

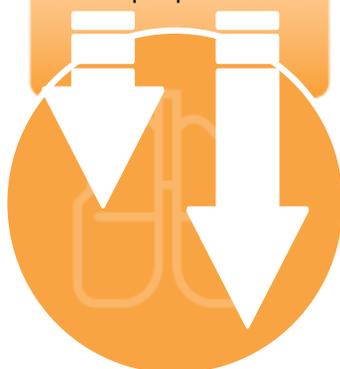
Autres tests

Quels sont les résultats principaux de l'étude ?

Les dispositifs que les participants ont emportés chez eux pour mesurer leur fonction pulmonaire étaient configurés de façon à offrir un meilleur résultat en effectuant trois mesures par jour. Dans cette étude, les participants ont mesuré leur fonction pulmonaire une fois par jour ; le spiromètre ne pouvait donc pas les avertir s'ils faisaient une erreur. Cela veut dire que les spiromètres ont accepté des valeurs de fonction pulmonaire impossibles et que les chercheurs n'ont pas pu obtenir les informations nécessaires pour déterminer si la pirfénidone avait un effet sur la fonction pulmonaire lorsque celle-ci était mesurée à domicile. Toutefois, les mesures réalisées à l'hôpital ont donné les résultats attendus :

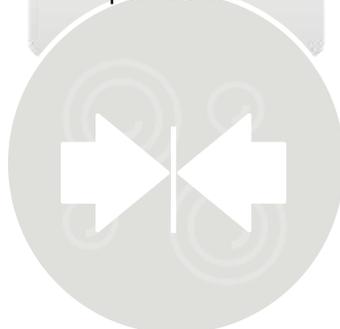


La diminution de la **capacité vitale forcée** était plus importante dans le groupe des participants ayant pris le placebo que dans celui des participants traités par pirfénidone.



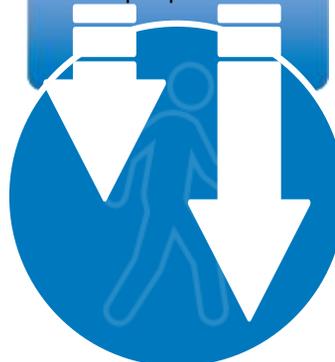
pirfénidone placebo
-18mL -113mL

Capacité de diffusion du monoxyde de carbone Les différences observées entre les deux groupes étaient trop faibles pour confirmer un effet quelconque de la pirfénidone.



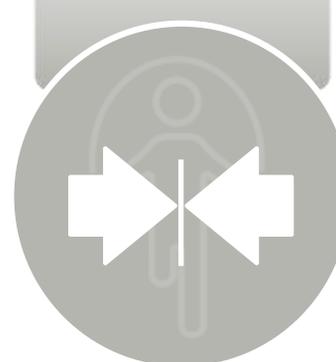
pirfénidone placebo
-1% -3%

La diminution de la distance parcourue en 6 minutes était plus importante dans le groupe des participants ayant pris le placebo que dans celui des participants traités par pirfénidone.



pirfénidone placebo
-2m -27m

Essoufflement, toux et qualité de vie Les différences entre les deux groupes étaient trop faibles pour confirmer un effet quelconque de la pirfénidone.



Des effets secondaires se sont-ils produits ?

Les effets secondaires, également appelés « réactions indésirables », sont des problèmes médicaux indésirables (comme des maux de tête) qui surviennent pendant l'étude. Les effets secondaires décrits dans ce résumé sont les effets que le médecin de l'étude a estimé être liés aux traitements de l'étude (pirfénidone ou placebo).

59% ont présenté un effet secondaire



71% prenant de la pirfénidone



46% prenant un placebo

Envie de vomir	38
Diarrhée	17
Sensation de fatigue	16
Diminution de l'appétit	18
Indigestion	11
Envie de vomir	6
Diarrhée	14
Sensation de fatigue	12
Diminution de l'appétit	9
Indigestion	4

Deux effets secondaires graves ont été signalés dans cette étude. L'un est survenu chez un participant prenant de la pirféridone (diminution de l'appétit) et l'autre chez un participant prenant le placebo (problèmes au foie).

Pendant l'étude, certains participants ont décidé d'arrêter de prendre leur médicament.

- Dans le groupe de la pirféridone, 25 personnes sur 127 (20 %) ont arrêté de prendre leur médicament ; chez 16 personnes sur 127 (13 %), cet arrêt était dû à un effet secondaire lié au médicament.
- Dans le groupe du placebo, 10 personnes sur 124 (8 %) ont arrêté de prendre leur médicament ; chez 1 personne sur 124 (moins de 1 %), cet arrêt était dû à un effet secondaire lié au médicament.

Où puis-je obtenir des informations supplémentaires ?

Vous pouvez obtenir de plus amples informations concernant cette étude en consultant les sites Internet indiqués ci-dessous :

<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>

Si vous souhaitez en savoir plus sur les résultats de cette étude, le titre complet de l'article scientifique en question est le suivant : « La pirféridone chez des patients atteints de maladie pulmonaire interstitielle fibrosante, progressive et inclassable : une étude de phase II, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo ». Les auteurs de cet article scientifique sont les suivants : T.M. Maher, T.J. Corte, A. Fischer, M. Kreuter, D.J. Lederer et d'autres. Cet article est paru dans la revue Lancet Respiratory Medicine.

Si vous avez d'autres questions après avoir lu ce résumé :

Consultez la plateforme ForPatients et remplissez le formulaire de contact suivant : <https://forpatients.roche.com/en/trials/respiratory-disorder/a-study-of-pirfenidone-in-patients-with-unclassifiable--64703.html>

Ou contactez un représentant de votre bureau local Roche.

Si vous avez participé à cette étude et avez des questions au sujet des résultats :

Adressez-vous au médecin ou personnel de l'étude de l'hôpital ou de la clinique de l'étude.

Si vous avez des questions concernant votre propre traitement :

Adressez-vous au médecin responsable de votre traitement.

D'autres études sont-elles prévues ?

Au moment de la rédaction de ce résumé, aucune nouvelle étude évaluant la pirféridone dans la MPLi n'est prévue.

L'étude a commencé en mai 2017 et se terminera en janvier 2020. Cette étude comporte deux parties. La première partie de l'étude a évalué l'efficacité du médicament de l'étude, ainsi que sa sécurité d'emploi. La deuxième partie de l'étude portera essentiellement sur la sécurité d'emploi de ce médicament.

Ce résumé comprend les résultats obtenus jusqu'au mois de novembre 2018. Il présente les résultats complets de la première partie de l'étude. La deuxième partie de l'étude est toujours en cours au moment de la rédaction de ce résumé.

Qui a organisé et financé cette étude ?

L'étude a été organisée et financée par F. Hoffmann-La Roche Ltd, dont le siège se situe à Bâle, en Suisse. Cette étude avait initialement été conçue dans le cadre d'une bourse de recherche clinique de l'Institut national de recherche en santé du Royaume-Uni (National Institute for Health Research, NIHR) attribuée au professeur Toby M. Maher (Réf NIHR : CS-2013-13-017). Elle a ensuite été adaptée à l'issue de discussions avec F. Hoffmann-La Roche, Ltd.