

## **Étude comparant l'effet d'un médicament appelé rituximab avec l'effet d'un médicament appelé mycophénolate mofétil pour le traitement d'une affection médicale dénommée pemphigus vulgaris.**

Voir le titre complet de l'étude à la fin de ce résumé.

### ***Remerciements***

Nous tenons à remercier les personnes qui ont participé à cet essai clinique (désigné par le terme « étude » dans le présent document). La participation généreuse de ces personnes aide les chercheurs à répondre à d'importantes questions médicales concernant le traitement du pemphigus vulgaris. L'objectif de cette étude PEMPHIX était de comparer les effets du rituximab avec les effets du mycophénolate mofétil (ou « MMF ») sur les symptômes du pemphigus vulgaris, afin de déterminer quel est le meilleur médicament.

Nous espérons que ce résumé vous aidera à comprendre les résultats de cette étude. Pour toute question concernant ces résultats, veuillez vous adresser à votre médecin ayant participé à l'étude.

## À propos de ce résumé

Il s'agit d'un résumé des résultats de l'étude menée auprès de patients atteints de pemphigus vulgaris modéré à sévère, rédigé à destination des :

- Personnes ayant participé à l'étude
- Membres du public

L'étude a commencé en mai 2015 et s'est terminée en octobre 2019.

Une étude ne peut pas tout nous révéler des risques et des avantages d'un médicament. Il est parfois nécessaire de réaliser plusieurs études auprès d'un plus grand nombre de personnes pour recueillir des informations sur l'efficacité réelle d'un médicament et sur ses effets secondaires. Les résultats de cette étude peuvent différer de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

Par conséquent, vous ne devriez pas prendre de décisions en vous basant simplement sur ce résumé. Parlez toujours à votre médecin ou à un autre professionnel de santé avant de prendre une quelconque décision au sujet de votre traitement.

## Contenu du résumé

1. Informations générales sur 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. En quoi cette étude aide-t-elle la recherche ?
7. Y a-t-il d'autres études prévues ?
8. Où puis-je trouver des informations complémentaires ?

## Informations clés sur cette étude

- Cette étude, baptisée PEMPHIX, a été menée afin de comparer un médicament appelé rituximab avec un autre médicament appelé mycophénolate mofétil (ou « MMF ») chez des personnes atteintes d'une maladie dénommée « pemphigus vulgaris » ou « PV ».
- Dans le cadre de cette étude, on a administré du rituximab ou du MMF à des personnes atteintes de pemphigus vulgaris modéré à sévère. Il a été décidé de manière aléatoire quel traitement serait administré à chacun des participants.
- Cette étude a porté sur 135 individus dans 10 pays ; 67 personnes ont reçu du rituximab et 68 personnes ont reçu du MMF.
- Dans un centre aux États-Unis, 10 des 135 personnes à l'étude ont eu recours à la télémédecine (le médecin de l'étude et les patients ont utilisé un iPhone pour permettre aux patients de participer à l'étude depuis leur domicile). Les informations recueillies auprès de ces patients grâce à la télémédecine ont été utilisées pour étudier l'innocuité du traitement, mais pas son efficacité contre le PV.
- L'étude a montré qu'après 52 semaines, 40,3 % des personnes qui prenaient du rituximab et 9,5 % des personnes qui prenaient du MMF ne présentaient aucun symptôme de leur maladie et n'avaient pas eu besoin de prendre de stéroïdes par voie orale pendant 16 semaines ou plus.
- Les effets secondaires du rituximab étaient semblables à ceux observés chez des personnes atteintes d'autres maladies auto-immunes traitées par rituximab.
- Les patients ont été suivis jusqu'à 48 semaines après avoir cessé de prendre les médicaments à l'étude. Les résultats de cette période de 48 semaines correspondaient aux résultats de la période de traitement et n'ont donné lieu à aucune nouvelle préoccupation en matière de santé.

## 1. Informations générales sur cette étude

### Pourquoi cette étude a-t-elle été réalisée ?

Le pemphigus vulgaris, ou PV, se manifeste par l'apparition des cloques douloureuses sur la peau et sur les muqueuses qui tapissent l'intérieur de la bouche, du nez et des organes génitaux. Le PV appartient à un type de maladies appelées maladies auto-immunes. Chez les personnes en bonne santé, le système immunitaire de l'organisme fabrique des protéines appelées « anticorps » qui aident à prévenir ou à combattre les infections et à protéger l'organisme contre les corps étrangers tels que les bactéries et les virus.

Lorsqu'une personne souffre d'une maladie auto-immune, le système immunitaire fabrique par erreur des anticorps qui s'attaquent au propre corps du patient. Chez les personnes atteintes de PV, le système immunitaire fabrique des anticorps dirigés contre la peau et les muqueuses, ce qui provoque des cloques et des plaies.

Les personnes atteintes de PV reçoivent généralement des médicaments qui réduisent l'activité du système immunitaire, tels que des stéroïdes avec ou sans un autre médicament appelé mycophénolate mofétil (ou « MMF »). Cependant, les symptômes du PV reviennent souvent pendant ou après le traitement avec ces médicaments, et ils peuvent avoir des effets secondaires graves.

Un essai clinique antérieur a montré que la prise de rituximab combiné à des stéroïdes est plus sûre et plus efficace dans le traitement du PV que la simple prise de stéroïdes. Sur la base des résultats de cet essai, le rituximab a été approuvé pour le traitement du PV modéré à sévère aux États-Unis en 2018 et en Europe en 2019.

Le MMF est disponible dans le monde entier pour traiter d'autres maladies, mais il n'est pas approuvé pour le traitement du PV. Les stéroïdes peuvent avoir des effets secondaires graves. Par conséquent, les médecins prescrivent souvent du MMF aux patients atteints de PV en plus des stéroïdes, ce qui peut permettre aux patients de diminuer leurs doses de stéroïdes. L'objectif de cette étude PEMPHIX était de comparer les effets, bons ou mauvais, du rituximab avec les effets du MMF sur les symptômes du PV, afin de déterminer quel est le meilleur médicament.

## **Quel était le médicament à l'étude?**

---

Les patients ont été répartis de manière aléatoire pour recevoir un traitement de rituximab par perfusion intraveineuse (administré directement dans le sang), ou de comprimés MMF par voie orale. La répartition aléatoire signifie que les patients ont été placés au hasard dans un groupe de traitement.

Le rituximab agit en diminuant le nombre de lymphocytes B (ou cellules B) dans le sang et les autres tissus. Les lymphocytes B sont un type de globules blancs qui font partie du système immunitaire et aident le corps à lutter contre les infections. Chez les personnes atteintes de PV, les lymphocytes B produisent les anticorps qui causent les symptômes de la maladie. Le rituximab peut aider à améliorer les symptômes du PV en réduisant le nombre de lymphocytes B qui produisent ces anticorps.

Le rituximab (Rituxan<sup>®</sup> ou MabThera<sup>®</sup>) est un médicament approuvé pour traiter :

- le pemphigus vulgaris (le rituximab n'était pas approuvé pour le PV lorsque l'étude PEMPHIX a commencé) ;
- deux types de maladies auto-immunes des vaisseaux sanguins appelées granulomatose polyangéite et polyangéite microscopique ;
- la polyarthrite rhumatoïde, qui est une maladie auto-immune des articulations ;
- un type de cancer du sang appelé lymphome non hodgkinien ;
- un type de cancer du sang appelé leucémie lymphoïde chronique.

Le MMF est un médicament approuvé dans le monde entier pour les personnes qui ont subi une greffe de rein, de cœur ou de foie afin d'empêcher le corps de rejeter l'organe transplanté. Le MMF a également été étudié chez des personnes atteintes de maladies auto-immunes ; toutefois, le MMF n'est pas approuvé pour le traitement du PV. Plusieurs études cliniques de petite envergure ont montré que le MMF peut être bénéfique aux patients atteints de PV. En effet, en arrêtant la production d'anticorps au moyen des lymphocytes B, il pourrait permettre aux patients de prendre moins de stéroïdes et éventuellement de réduire le risque d'effets secondaires liés aux stéroïdes.

Les participants à l'étude PEMPHIX prenaient des stéroïdes pour traiter leur PV au moment où ils ont commencé l'étude. Au cours de l'étude, les patients ont continué de prendre des stéroïdes et du rituximab ou du MMF a été ajouté à leur traitement. Au fur et à mesure de la diminution des symptômes de la maladie, la dose de stéroïdes a été progressivement réduite. L'objectif était que les patients arrêtent de prendre des stéroïdes.

Le patient et les médecins participant à l'étude ne savaient pas quel traitement le patient avait reçu. Les patients désignés pour une perfusion intraveineuse de rituximab ont également pris un comprimé placebo d'apparence similaire au MMF mais qui ne contenait aucun médicament. Les patients désignés pour recevoir du MMF ont également reçu une perfusion intraveineuse placebo qui ne contenait aucun médicament.

### **Que voulaient savoir les chercheurs ?**

---

Les chercheurs ont mené cette étude pour comparer le rituximab avec le MMF afin d'évaluer l'efficacité des médicaments et de déterminer si le rituximab est meilleur que le MMF (voir la section 4 « Quels ont été les résultats de l'étude ? »).

Ils voulaient également évaluer l'innocuité des médicaments à l'étude en contrôlant le nombre de personnes ayant eu des effets secondaires durant cette étude (voir la section 5 « Quels ont été les effets secondaires ? »).

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

1. Après 52 semaines de traitement, combien de personnes dans chaque groupe de traitement étaient en rémission complète ?

Il a été considéré que les patients étaient en rémission complète lorsque, pendant 16 semaines consécutives ou plus, la peau et les muqueuses sont apparues guéries, sans signe de maladie active, alors que le patient ne prenait pas de stéroïdes.

### **Voici d'autres questions auxquelles les chercheurs voulaient répondre :**

2. Quelle était la quantité totale de stéroïdes prise par les personnes de chaque groupe de traitement au cours de l'étude ?
3. Quel était le nombre total de poussées de la maladie dans chaque groupe de traitement ?

Une poussée était définie comme le fait de présenter au cours d'un mois 3 nouvelles lésions ou plus n'ayant pas guéri d'elles-mêmes en l'espace d'une semaine, ou des lésions existantes qui se sont étendues chez un patient dont la maladie a été contrôlée. On considère qu'une maladie était sous contrôle lorsqu'aucune nouvelle lésion n'était apparue et que les lésions existantes commençaient à guérir.

4. Comment les médicaments à l'étude ont-ils influé sur la qualité de vie des gens ?

### Quel genre d'étude était-ce ?

---

Cette étude était une étude de « **phase III** ». Cela signifie que le rituximab avait déjà été testé auprès d'un plus petit nombre de personnes atteintes de PV avant cette étude. Dans la présente étude, un plus grand nombre de personnes atteintes de PV ont reçu du rituximab ou du MMF pour déterminer si le rituximab fonctionnait mieux que le MMF.

Il s'agissait d'une étude « **randomisée** ». Cela signifie qu'il a été décidé au hasard quels médicaments les personnes participant à l'étude recevraient – comme une sorte de tirage au sort.

Il s'agissait d'une étude « **en double aveugle** ». Cela signifie que les personnes et les médecins participant à l'étude ne savaient pas lequel des médicaments à l'étude les personnes prenaient.

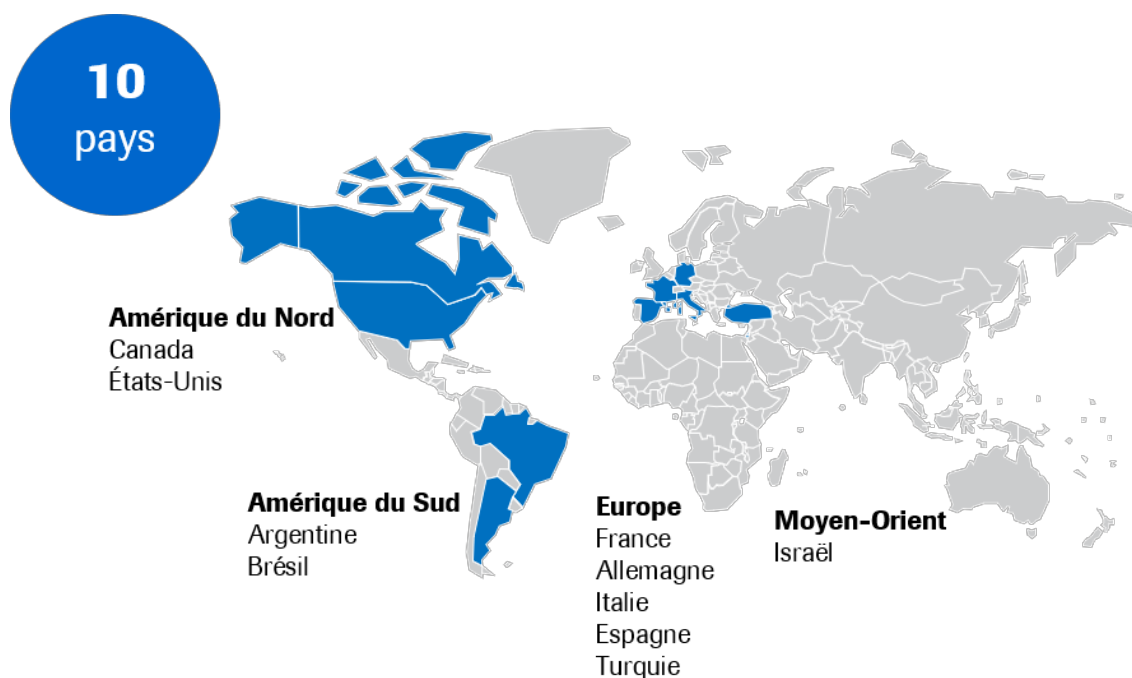
Il s'agissait d'une étude « **en double placebo** » ; cette procédure sert à comparer des médicaments différents (par exemple, une perfusion intraveineuse et un comprimé). Cela signifie que tous les participants ont reçu l'un des médicaments à l'étude et un « placebo » (c'est-à-dire un « médicament factice ») d'apparence similaire à un médicament mais qui ne contient aucun médicament réel.

### Quand et où l'étude a-t-elle eu lieu ?

---

L'étude a commencé en mai 2015 et s'est terminée en octobre 2019. Ce résumé comprend l'ensemble des résultats d'une période de traitement de 52 semaines et d'une période de suivi de 48 semaines.

Cette étude s'est déroulée dans 49 centres d'études répartis à travers 10 pays d'Europe, du Moyen-Orient, d'Amérique du Nord et d'Amérique du Sud. La carte ci-dessous montre les pays dans lesquels cette étude a eu lieu.



## 2. Qui a participé à cette étude ?

Cette étude a été menée avec la participation de 135 patients atteints de PV. Dix des 135 patients d'un centre aux États-Unis ont utilisé la télémédecine. Dans ce cas, le médecin de l'étude a utilisé un iPhone pour communiquer avec le patient et assurer le suivi du patient afin que ce dernier puisse participer à l'étude de chez lui.

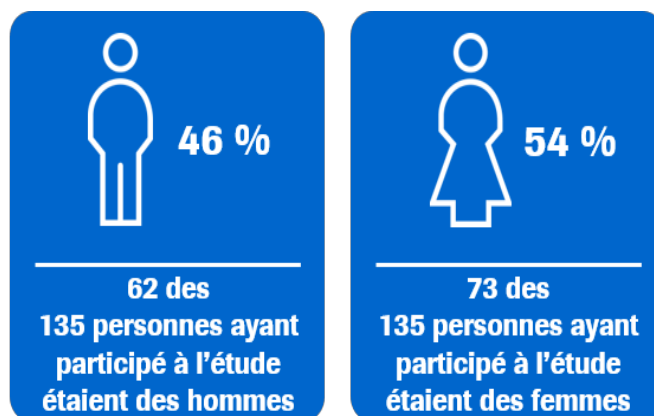
Les personnes pouvaient prendre part à l'étude à condition de répondre aux critères suivants :

- avoir reçu un diagnostic de PV au cours des 24 derniers mois ;
- être atteint d'un PV d'intensité modérée à sévère ;
- prendre des stéroïdes uniquement et être susceptibles de bénéficier de l'ajout de rituximab ou de MMF ;

Les patients ne pouvaient pas participer à l'étude s'ils avaient :

- des types de pemphigus ou de maladie bulleuse auto-immune autres que le PV ;
- une réaction allergique connue au rituximab, au MMF ou aux stéroïdes ;
- le VIH, une hépatite B ou C ;
- une infection active de tout type (sauf une infection fongique des ongles)

Ci-dessous figurent des renseignements complémentaires sur les personnes ayant participé à l'étude :



**Tranche d'âge des patients ayant participé à l'étude : 23 à 75 ans**

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

Les participants à l'étude ont été choisis au hasard (de manière aléatoire par ordinateur) pour recevoir l'un des deux traitements.

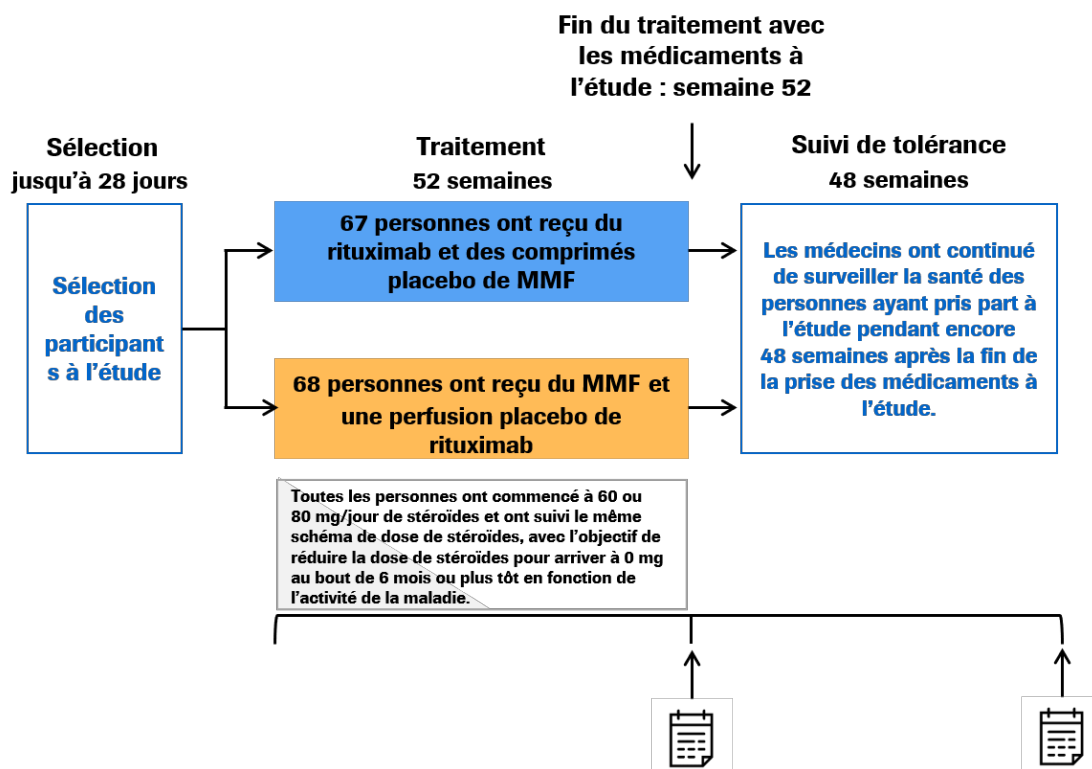
Les deux groupes de traitement étaient les suivants :

- **Rituximab** (médicament à l'étude) — administré par perfusion intraveineuse les jours 1 et 15 et de nouveau aux semaines 24 et 26. Les patients de ce groupe ont également reçu un comprimé placebo d'apparence similaire à un comprimé de MMF
- **MMF** (médicament de comparaison) — comprimé pris par voie orale deux fois par jour. Les patients de ce groupe ont également reçu une perfusion placebo qui ressemblait au rituximab.

Les personnes participant à l'étude prenaient des **stéroïdes** par voie orale lorsqu'elles ont commencé l'étude. Elles ont continué de prendre les stéroïdes et du rituximab ou du MMF a été ajouté à leur traitement. Au fur et à mesure de la diminution des symptômes du PV, la dose de stéroïdes a été progressivement réduite. L'objectif était que les patients arrêtent de prendre des stéroïdes à la semaine 24 de l'étude ou avant, si approprié.

L'illustration ci-dessous montre ce qui s'est passé durant l'étude.





Les symboles sur la chronologie (📅) indiquent à quel moment les informations présentées dans ce résumé ont été recueillies, après que tous les patients ont terminé la période de traitement de 52 semaines (novembre 2018) et après une période de suivi de tolérance de 48 semaines (octobre 2019). Au cours de la période de suivi de tolérance, les médecins ont eu recours au traitement habituel pour traiter les patients atteints de PV.

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

Les 10 patients qui ont participé à l'étude via la télémédecine (5 dans le groupe rituximab et 5 dans le groupe MMF) ne sont pas inclus dans les résultats qui montrent à quel point le rituximab et le MMF ont bien fonctionné (appelés résultats d'efficacité) car les médecins se sont appuyés sur des photos et des vidéos pour déterminer comment la maladie réagissait au traitement. Tous les autres patients ont été vus en personne par leur médecin participant à l'étude. Toutefois, les 10 patients suivis par télémédecine ont été pris en compte dans les résultats sur les effets secondaires (innocuité) (voir la section 5). Les données de 125 patients ont donc été analysées pour les résultats sur l'efficacité et les données de 135 patients ont été analysées pour les résultats sur l'innocuité.

##### Question 1 : Après 52 semaines de traitement, combien de personnes dans chaque groupe de traitement étaient en rémission complète ?

Il a été considéré que les patients étaient en rémission complète lorsque, pendant 16 semaines consécutives ou plus, la peau et les muqueuses sont apparues guéries, sans signe de maladie active, alors que le patient ne prenait pas de stéroïdes.

Après 52 semaines de traitement, 40,3 % des personnes qui avaient reçu du rituximab ont obtenu une rémission complète durable pendant au moins 16 semaines (en ayant arrêté

---

de prendre des stéroïdes) contre 9,5 % des personnes dans le groupe ayant reçu du MMF. Ce résultat était statistiquement notable ( $P < 0,0001$ ), ce qui signifie que le rituximab était plus efficace que le MMF. Statistiquement notable signifie qu'il est improbable que la différence observée entre les deux groupes soit le fait du hasard.

**Nombre de patients ayant obtenu une rémission complète soutenue sans prise de stéroïdes pendant au moins 16 semaines à la semaine 52**

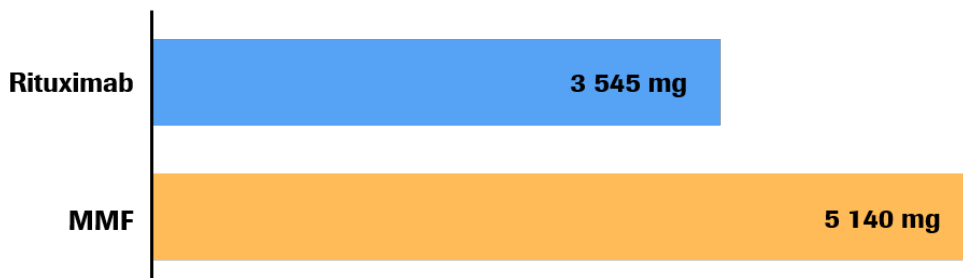


**Question 2 : Quelle était la quantité totale de stéroïdes prise par les personnes de chaque groupe de traitement au cours de l'étude ?**

---

Les personnes du groupe du rituximab ont pris une quantité totale de stéroïdes par voie orale beaucoup plus faible au cours de la période de traitement de 52 semaines que les personnes du groupe MMF. En moyenne, les personnes qui ont reçu du rituximab ont pris un total de 3 545 mg de stéroïdes, et les personnes qui ont reçu du MMF ont pris un total de 5 140 mg ( $P = 0,0005$ ).

**Quantité totale moyenne de stéroïdes par voie orale au cours de la période de traitement de 52 semaines**



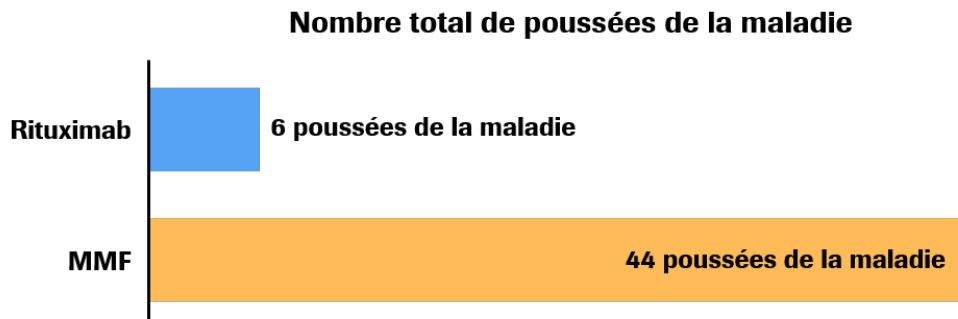
Au cours de la période de suivi de tolérance, les médecins ont eu recours au traitement habituel pour traiter les patients atteints de PV. La quantité totale de stéroïdes prise par voie orale a été étudiée en fonction du traitement de l'étude reçu par les patients au cours de la période de traitement de 52 semaines.

Les patients ayant reçu du rituximab au cours de la période de traitement de 52 semaines ont pris une quantité totale moyenne plus faible de stéroïdes par voie orale au cours de la période de suivi de tolérance (1060 mg) que les patients du groupe ayant reçu du MMF (3920 mg).

**Question 3 : Quel était le nombre total de poussées de la maladie dans chaque groupe de traitement ?**

---

Au cours de la période de traitement de 52 semaines, les personnes traitées par rituximab ont connu un nombre significativement plus faible de poussées que les personnes traitées par MMF (6 contre 44 ;  $P < 0,0001$ ).



Au cours de la période de suivi de tolérance, les médecins ont eu recours au traitement habituel pour traiter les patients atteints de PV. Le nombre de poussées de la maladie a été étudié en fonction du traitement de l'étude reçu par les patients au cours de la période de traitement de 52 semaines.

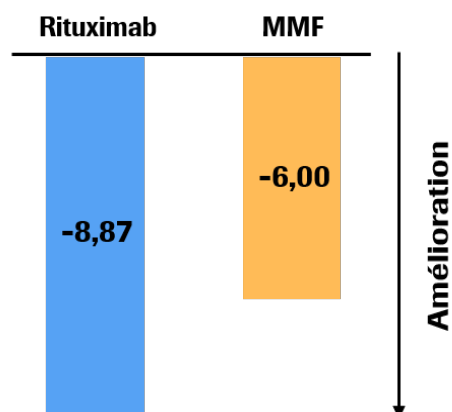
Au cours de la période de suivi de tolérance, les patients ayant reçu du rituximab au cours de la période de traitement de 52 semaines ont signalé quatre poussées contre neuf poussées de la maladie dans le groupe ayant reçu du MMF.

#### **Question 4 : Comment les médicaments à l'étude ont-ils influé sur la qualité de vie des gens ?**

---

Les chercheurs ont utilisé un questionnaire appelé Dermatology Life Quality Index (DLQI) pour mesurer l'effet du PV sur la qualité de vie des participants pendant l'étude. Des exemples des aspects de la vie susceptibles d'être affectés par le PV incluent le travail ou les études, les activités sociales, le shopping, les soins à domicile et les relations intimes. Une diminution du score (sur une échelle de 0 à 30) signifie que les patients pensent que l'effet du PV sur leur qualité de vie était moindre. Au cours de la période de traitement de 52 semaines, les personnes traitées par rituximab ont présenté des améliorations significativement plus importantes de la qualité de vie liée à la santé que les personnes traitées par MMF ( $P = 0,0012$ ). La différence en termes d'amélioration entre les deux groupes étant statistiquement notable, il est peu probable qu'elle soit le fait du hasard.

## Modification du résultat du Dermatology Life Quality Index entre le début de l'étude et la semaine 52



Au cours de la période de suivi de tolérance, les médecins ont eu recours au traitement habituel pour traiter les patients atteints de PV. La qualité de vie a été étudiée au cours de la période de suivi de tolérance en fonction du traitement de l'étude reçu par les patients au cours de la période de traitement de 52 semaines.

Entre les semaines 12 et 48 de la période de suivi de tolérance, les scores DLQI moyens ont diminué (ce qui signifie que la qualité de vie des patients s'est améliorée) de 0,96 dans le groupe du rituximab et de 2,14 dans le groupe du MMF.

## 5. Quels ont été les effets secondaires ?

Dans cette étude, les effets secondaires des médicaments ont été examinés **au cours de la période de traitement de 52 semaines** chez tous les patients qui ont reçu au moins une dose des médicaments à l'étude, y compris les patients qui ont participé à l'étude via la télé-médecine.

Tous les patients de cette étude n'ont pas présenté d'effets secondaires.

### Effets secondaires du rituximab

#### **Les effets secondaires les plus fréquents**

Les effets secondaires du rituximab désignent les événements médicaux indésirables qui se sont produits chez au moins 5 % des patients traités par rituximab et qui ont été jugés comme liés au rituximab.

Les effets secondaires suivants chez les patients traités par rituximab se sont produits pendant la phase de traitement (52 semaines) :

<b>Effet secondaire</b>	<b>Personnes prenant du rituximab (67 personnes au total)</b>
Réaction à la perfusion	22 % (15 sur 67)
Maux de tête	15 % (10 sur 67)
Infection du nez, de la gorge et des voies respiratoires supérieures (infection des voies respiratoires supérieures)	10 % (7 sur 67)
Infection du nez et de la gorge — ce qu'on appelle aussi un « simple rhume »	9 % (6 sur 67)
Candidose orale — infection fongique dans la bouche ou la gorge	9 % (6 sur 67)
Douleurs articulaires	9 % (6 sur 67)
Douleur au dos	9 % (6 sur 67)
Infection au niveau des reins, de la vessie ou des voies qui transportent de l'urine hors du corps (infections des voies urinaires ou IVU)	8 % (5 sur 67)
Sensation de fatigue	8 % (5 sur 67)
Sensation de vertige	6 % (4 sur 67)
Sensation de faiblesse	6 % (4 sur 67)

### ***Effets secondaires graves***

Chez 3 patients sur 15 qui ont réagi à une perfusion, cette réaction a mis la vie du patient en danger. Les patients ont reçu un traitement approprié et la réaction s'est résorbée, mais les patients ont dû arrêter de prendre du rituximab.

Un des 7 patients qui ont souffert d'une infection des voies respiratoires supérieures a dû se rendre à l'hôpital pour y être soigné.

## **Effets secondaires du MMF**

---

### ***Les effets secondaires les plus fréquents***

Les effets secondaires du MMF désignent des événements médicaux indésirables qui, selon le médecin participant à l'étude, étaient liés au MMF.

Les effets secondaires du MMF qui ont été signalés le plus souvent étaient des infections courantes du nez, de la gorge, des voies respiratoires supérieures, des voies urinaires, de l'estomac ou des intestins. Ces infections sont survenues chez 11 des 68 patients (16,2 % des patients). Les autres effets secondaires du MMF les plus souvent signalés étaient des

problèmes d'estomac courants comme des selles molles, des douleurs dans l'abdomen (entre la poitrine et les régions pelviennes), des nausées (envie de vomir) et des cas de constipation. Ces problèmes d'estomac sont survenus chez 9 des 68 patients (13,2 % des patients).

### **Effets secondaires graves**

Cinq patients pour lesquels on a estimé que les événements médicaux étaient liés au MMF ont dû se rendre à l'hôpital pour y être soignés.

Trois de ces 5 patients présentaient des infections : un patient a eu une infection pulmonaire et la grippe, un autre patient a développé un zona, et le dernier patient a souffert d'une aggravation de sa maladie pulmonaire chronique avec un blocage de la circulation de l'air dans les poumons. En ce qui concerne les deux autres patients qui ont été soignés à l'hôpital, l'un avait un ulcère cutané et l'autre ne pouvait pas uriner.

**Au cours de la période de suivi de tolérance**, les médecins ont eu recours au traitement habituel pour traiter les patients atteints de PV. L'analyse des données de tolérance recueillies au cours de la période de suivi de tolérance n'a donné lieu à aucune préoccupation en matière de sécurité pour aucun des deux médicaments (rituximab ou MMF). Aucun effet secondaire supplémentaire n'a été identifié pour aucun des deux médicaments.

## **6. En quoi cette étude aide-t-elle la recherche ?**

L'information présentée ici provient d'une seule étude menée auprès de personnes ayant un PV modéré à sévère. Ces résultats ont permis aux chercheurs d'en apprendre davantage sur l'efficacité et l'innocuité du rituximab dans le traitement des patients atteints de PV modéré à sévère comparativement au MMF.

Dans l'ensemble, cette étude a montré que le rituximab est plus efficace que le MMF. Au cours de la période de traitement de 52 semaines, un total de 40,3 % des patients traités par rituximab ont obtenu une rémission complète et durable sans stéroïdes (pendant 16 semaines consécutives ou plus, la peau et les muqueuses sont apparues guéries et aucune maladie évolutive ne s'est manifestée alors que le patient ne prenait pas de stéroïdes) contre 9,5 % des patients traités par MMF. Les patients traités par rituximab ont pris moins de stéroïdes, ont été moins susceptibles d'avoir une poussée et ont eu une meilleure qualité de vie que les patients traités au MMF. Les effets secondaires du rituximab chez les patients atteints de PV ont été semblables à ceux observés chez les personnes traitées par rituximab pour d'autres maladies auto-immunes, comme la polyarthrite rhumatoïde, la granulomatose polyangéite et la polyangéite microscopique. Les résultats préliminaires sur l'efficacité de la période de suivi de tolérance correspondaient aux résultats observés pendant la période de traitement de 52 semaines. Les données de tolérance recueillies au cours de la période de suivi de tolérance n'ont pas donné lieu à de nouvelles préoccupations en matière de sécurité pour aucun des deux traitements de l'étude.

Une étude ne peut pas tout nous révéler des risques et des avantages d'un médicament. Il est parfois nécessaire de réaliser plusieurs études auprès d'un plus grand nombre de

personnes pour recueillir des informations sur l'efficacité réelle d'un médicament et sur ses effets secondaires. Les résultats de cette étude peuvent différer de ceux d'autres études portant sur le même médicament.

- Par conséquent, vous ne devriez pas prendre de décisions en vous basant simplement sur ce résumé – parlez toujours à votre médecin avant de prendre une quelconque décision au sujet de votre traitement.

## 7. Y a-t-il d'autres études prévues ?

Une étude en cours en France, menée par le groupe français d'étude des maladies bulleuses auto-immunes (le groupe Bulle), examine l'efficacité et l'innocuité du rituximab chez les patients atteints de pemphigoïde muqueux.

Au moment de la rédaction de ce résumé, Roche ne planifiait plus d'études portant sur le rituximab dans le traitement du PV.

## 8. Où puis-je trouver des informations complémentaires ?

Vous trouverez des informations complémentaires sur cette étude sur nos sites Web :

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02383589>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2014-000382-41>
- <https://forpatients.roche.com/>

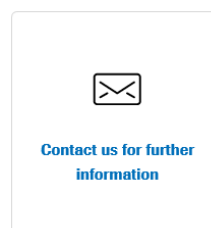
## Qui puis-je contacter si j'ai des questions concernant cette étude ?

Si vous avez encore des questions après avoir lu ce résumé,

- visitez le site d'Essais Cliniques : <https://forpatients.roche.com/>. Cliquez sur



dans le coin inférieur droit, puis cliquez sur  
remplissez le formulaire de contact.



Contact us for further  
information

et

- Contactez un représentant de votre bureau Roche local.

Si vous avez participé à l'étude et que vous avez des questions au sujet des résultats ou du traitement à l'étude que vous avez reçu :

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

Si vous avez des questions au sujet de votre propre traitement du PV :

- adressez-vous au médecin responsable de votre traitement.

### **Qui a organisé et financé cette étude ?**

Cette étude a été organisée et financée par F. Hoffmann-La Roche Ltd dont le siège se situe à Bâle, en Suisse.

### **Titre complet de l'étude et autres renseignements d'identification**

Titre complet de l'étude :

étude multicentrique, randomisée, menée en double aveugle et double placebo et avec comparateur actif pour évaluer l'efficacité et la sécurité du rituximab par rapport au mycophénolate mofétil (MMF) chez des patients atteints de pemphigus vulgaris (PV).

Cette étude est baptisée PEMPHIX.

Numéro de protocole de cette étude : WA29330.

Identifiant ClinicalTrials.gov de cette étude : NCT02383589.

Numéro EudraCT de cette étude : 2014-000382-41.