

Αποτελέσματα κλινικής δοκιμής



Χορηγός της έρευνας:	Eisai Ltd.
Φάρμακο υπό μελέτη:	Εριβουλίνη, που ονομάζεται επίσης E7389
Σύντομος τίτλος δοκιμής:	Μια δοκιμή για να διαπιστωθεί πώς η εριβουλίνη και η ιρινοτεκάνη λειτουργούν μαζί και να εξεταστεί η ασφάλειά τους σε παιδιά με καρκίνο που έχει υποτροπιάσει ή δεν έχει ανταποκριθεί σε προηγούμενη θεραπεία

Σας ευχαριστούμε!

Εσείς, οι γονείς σας ή ο φροντιστής σας, λάβατε μέρος ή έχετε εμπλακεί σε αυτήν την κλινική δοκιμή για τα φάρμακα της δοκιμής, την εριβουλίνη και την ιρινοτεκάνη. Όλοι οι συμμετέχοντες βοήθησαν τους ερευνητές να μάθουν περισσότερα για την εριβουλίνη, ώστε να βοηθήσουν τα παιδιά με ορισμένους τύπους καρκίνου.

Η Eisai, μια ιαπωνική φαρμακευτική εταιρεία και χορηγός αυτής της δοκιμής, σας ευχαριστούν για τη βοήθειά σας. Η Eisai δεσμεύεται για τη βελτίωση της υγείας μέσω της συνεχούς έρευνας σε τομείς ανεκπλήρωτων αναγκών και της κοινοποίησης των αποτελεσμάτων της δοκιμής στην οποία συμμετείχατε.

Η Eisai συνέταξε αυτήν τη σύνοψη σε συνεργασία με έναν οργανισμό σύνταξης κειμένων ιατρικού και ρυθμιστικού περιεχομένου που ονομάζεται Certara Synchrogenix.

Εάν εσείς, οι γονείς σας ή ο φροντιστής σας έχετε ερωτήσεις σχετικά με τα αποτελέσματα, συζητήστε με τον ιατρό ή το προσωπικό στο κέντρο της δοκιμής.

Τι έχει συμβεί από την έναρξη της δοκιμής;

Η δοκιμή περιλάμβανε 40 συμμετέχοντες από 22 κέντρα στη Γαλλία, τη Γερμανία, την Ελλάδα, την Ιταλία, την Πολωνία, την Ισπανία και το Ηνωμένο Βασίλειο. Ξεκίνησε τον Μάρτιο του 2018 και ολοκληρώθηκε τον Μάιο του 2021.

Ο χορηγός της δοκιμής εξέτασε τα δεδομένα που συλλέχθηκαν και παρήγαγε μια αναφορά των αποτελεσμάτων. Το παρόν είναι μια σύνοψη αυτής της αναφοράς.

Γιατί χρειάστηκε η έρευνα;

Οι ερευνητές ήθελαν να μάθουν σχετικά με την ασφάλεια της εριβουλίνης και της ιρινοτεκάνης όταν χορηγούνται μαζί σε παιδιά με καρκίνο. Επίσης, αναζητούσαν έναν διαφορετικό τρόπο για τη θεραπεία παιδιών με 3 τύπους καρκίνου που έχει υποτροπιάσει ή που δεν έχει ανταποκριθεί στη θεραπεία και για τον οποίο δεν υπάρχει γνωστή ίαση. Οι 3 τύποι καρκίνου ήταν το ραβδομυοσάρκωμα (RMS), το σάρκωμα μαλακών μορίων διαφορετικό από το ραβδομυοσάρκωμα (NRSTS) και το σάρκωμα Ewing (EWS).

Ο τυπικός τρόπος θεραπείας αυτών των καρκίνων είναι με θεραπείες που βοηθούν στη συρρίκνωση των όγκων.

Η εριβουλίνη και η ιρινοτεκάνη είναι θεραπείες που βοηθούν στη συρρίκνωση των όγκων. Η ιρινοτεκάνη μερικές φορές χορηγείται μόνη της σε παιδιά με καρκίνο.

Οι ερευνητές ήθελαν επίσης να διαπιστώσουν εάν παρουσιάστηκαν οποιαδήποτε ανεπιθύμητα συμβάντα στα παιδιά κατά τη διάρκεια της δοκιμής. Ένα ανεπιθύμητο συμβάν είναι ένα ιατρικό πρόβλημα που μπορεί να προκαλείται από το φάρμακο της δοκιμής ή όχι.

Τα κύρια ερωτήματα που ήθελαν να απαντήσουν οι ερευνητές σε αυτήν τη δοκιμή ήταν:

- Ποιες είναι οι ασφαλέστερες δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης όταν χορηγούνται μαζί σε παιδιά με καρκίνο;
- Πόσο αποτελεσματικές είναι οι επιλεγμένες δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης σε παιδιά με RMS, NRSTS και EWS που έχει υποτροπιάσει ή τα οποία δεν έχουν ανταποκριθεί στη θεραπεία;
- Ποια ανεπιθύμητα συμβάντα παρουσιάστηκαν στους συμμετέχοντες που έλαβαν εριβουλίνη και ιρινοτεκάνη;

Είναι σημαντικό να γνωρίζετε ότι αυτή η δοκιμή σχεδιάστηκε έτσι ώστε να ληφθούν οι πλέον ακριβείς απαντήσεις στις ερωτήσεις που αναφέρονται παραπάνω. Υπήρξαν και άλλες ερωτήσεις για τις οποίες οι ερευνητές ήθελαν να μάθουν περισσότερα, αλλά αυτές δεν ήταν οι κύριες ερωτήσεις για την απάντηση των οποίων σχεδιάστηκε η δοκιμή.

Τι είδους δοκιμή ήταν αυτή;

Για να απαντήσουν σε αυτές τις ερωτήσεις, οι ερευνητές ζήτησαν τη βοήθεια συμμετεχόντων όπως εσείς.

Οι συμμετέχοντες στη δοκιμή ήταν ηλικίας από 4 έως 17 ετών. Από το σύνολο των συμμετεχόντων, πάνω από τους μισούς (21 συμμετέχοντες) ήταν άνδρες και κάτω από τους μισούς (19 συμμετέχοντες) ήταν γυναίκες.

Αυτή η δοκιμή ήταν «ανοικτής επισήμανσης». Αυτό σημαίνει ότι οι συμμετέχοντες, οι γονείς ή οι φροντιστές τους, οι ιατροί και το προσωπικό της δοκιμής, καθώς και ο χορηγός, γνώριζαν ποια φάρμακα έλαβαν οι συμμετέχοντες.

Αυτή η δοκιμή είχε 2 μέρη:

- **Στο Μέρος 1**, οι ερευνητές ήθελαν να μάθουν για την ασφάλεια διαφορετικών δόσεων εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης όταν λαμβάνονται μαζί. Οι συμμετέχοντες σε αυτό το μέρος της δοκιμής είχαν συνολικά 7 διαφορετικούς τύπους καρκίνου.
- **Στο Μέρος 2**, χρησιμοποιώντας τις επιλεγμένες δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης από το Μέρος 1, οι ερευνητές ήθελαν να μάθουν πώς η εριβουλίνη και η ιρινοτεκάνη συρρικνώνουν τους όγκους των συμμετεχόντων με RMS, NRSTS και EWS.

Δεν επιτράπηκε στους συμμετέχοντες να συμμετάσχουν στο Μέρος 1, εάν είχαν λάβει εριβουλίνη εντός 6 μηνών από την έναρξη της δοκιμής. Δεν επιτράπηκε στους συμμετέχοντες να λάβουν μέρος στο Μέρος 2, εάν είχαν λάβει εριβουλίνη οποιαδήποτε στιγμή ή εάν είχαν λάβει ιρινοτεκάνη σε οποιαδήποτε στιγμή, εκτός εάν είχαν θετική ανταπόκριση στην ιρινοτεκάνη.

Δεν επιτράπηκε στους συμμετέχοντες να λάβουν μέρος στη δοκιμή εάν είχαν οποιαδήποτε 1 νόσο από μια ομάδα νόσων που ήταν αποτέλεσμα βλαβών στα νεύρα ή νεύρων που δεν λειτουργούσαν σωστά, η οποία ονομάζεται επίσης νευροπάθεια.

Δεν επιτράπηκε επίσης σε συμμετέχοντες με ορισμένα καρδιακά προβλήματα να λάβουν μέρος στη δοκιμή.

Λάβατε εριβουλίνη και ιρινοτεκάνη μέσω μιας βελόνας στη φλέβα σας, που ονομάζεται επίσης ενδοφλέβια χορήγηση ή ΕΦ (IV). Η παρακάτω εικόνα δείχνει πώς χορηγήθηκε η θεραπεία στη δοκιμή σας.

- Η ποσότητα της εριβουλίνης και της ιρινοτεκάνης που λάβατε μετρήθηκε σε χιλιοστόγραμμα (mg) και υπολογίστηκε με βάση την επιφάνεια του σώματός σας σε τετραγωνικά μέτρα (m²).
- Οι ερευνητές χρησιμοποίησαν διαφορετικές δόσεις ιρινοτεκάνης στο Μέρος 1 για να διαπιστώσουν ποια ήταν ασφαλή όταν χορηγήθηκε μαζί με εριβουλίνη.

Αποτελέσματα κλινικής δοκιμής

- Η θεραπεία της δοκιμής χορηγήθηκε σε επαναλαμβανόμενες χρονικές περιόδους 21 ημερών που ονομάζονται κύκλοι θεραπείας.
- Οι διαφορετικές δόσεις της θεραπείας της δοκιμής ονομάστηκαν Σχήμα Α και Σχήμα Β.

Ο πίνακας στην επόμενη σελίδα εμφανίζει τις δόσεις και στα δύο σχήματα.

Στο Μέρος 1, οι συμμετέχοντες έλαβαν είτε το Σχήμα Α είτε το Σχήμα Β

	Σχήμα Α Κύκλοι 21 ημερών	Σχήμα Β Κύκλοι 21 ημερών
Εριβουλίνη	1,4 mg/m ² τις ημέρες 1 και 8	1,4 mg/m ² [τις ημέρες 1 και 8
Ιρινοτεκάνη	20 ή 40 mg/m ² [τις 1] τις ημέρες 1, 2, 3, 4 και 5	100 ή 125 mg/m ² τις ημέρες 1 και 8

Η παρακάτω εικόνα δείχνει πώς χορηγήθηκε η θεραπεία στη δοκιμή που συμμετείχατε.

Πώς έλαβαν τη θεραπεία οι συμμετέχοντες;

Μέρος



13
συμμετέχοντες
έλαβαν μέρος



7 συμμετέχοντες έλαβαν το
Σχήμα Α
6 συμμετέχοντες έλαβαν το
Σχήμα Β



Η θεραπεία της δοκιμής
λήφθηκε σε
επαναλαμβανόμενους
κύκλους **21 ημερών**

Στο Μέρος 1, το κύριο ερώτημα που είχαν οι ερευνητές ήταν ποιες ήταν οι ασφαλέστερες επιλεγμένες δόσεις εριβουλίνης και ιρινετεκάνης όταν χορηγούνται μαζί σε παιδιά με καρκίνο

Μέρος



27
συμμετέχοντες
έλαβαν
μέρος



Όλοι οι συμμετέχοντες
έλαβαν το Σχήμα Α



Η θεραπεία της δοκιμής
λήφθηκε σε
επαναλαμβανόμενους
κύκλους **21 ημερών**

Στο Μέρος 2, το κύριο ερώτημα που είχαν οι ερευνητές ήταν το πόσο αποτελεσματικές ήταν οι επιλεγμένες δόσεις εριβουλίνης και ιρινετεκάνης σε παιδιά με RMS, NRSTS και EWS που έχει υποτροπιάσει ή που δεν έχει ανταποκριθεί στη θεραπεία

Τι συνέβη κατά τη διάρκεια της δοκιμής;

Πριν από την έναρξη της δοκιμής, οι συμμετέχοντες υποβλήθηκαν σε εξετάσεις, διαδικασίες και σαρώσεις. Αυτά έγιναν για να μπορούν οι ιατροί να κάνουν ένα πλήρες τσεκ-απ και να βεβαιωθούν ότι κάθε συμμετέχων θα μπορούσε να συμμετάσχει στη δοκιμή.

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 1 και του Μέρους 2 της δοκιμής, οι συμμετέχοντες, μαζί με τους γονείς ή τους φροντιστές τους, επισκέφθηκαν το κέντρο της δοκιμής περίπου 13 φορές. Κατά τη διάρκεια αυτών των επισκέψεων, οι ιατροί της δοκιμής χορήγησαν στους συμμετέχοντες τις θεραπείες της δοκιμής, συνέχισαν να ελέγχουν

την υγεία τους και πραγματοποιήσαν εξετάσεις και διαδικασίες, που περιλάμβαναν τις εξής:

- Κλινική εξέταση
- Σαρώσεις για την αξιολόγηση της ανταπόκρισης του όγκου
- Εξετάσεις αίματος και ούρων
- Έλεγχος της υγείας της καρδιάς του συμμετέχοντος
- Έλεγχος για ανεπιθύμητα συμβάντα

Έως 28 ημέρες μετά την τελευταία δόση, όλοι οι συμμετέχοντες επισκέφθηκαν το κέντρο της δοκιμής. Οι ιατροί της δοκιμής πραγματοποίησαν περαιτέρω τσεκ-απ για τους συμμετέχοντες, συμπεριλαμβανομένων ελέγχων για ανεπιθύμητα συμβάντα. Στη συνέχεια, οι συμμετέχοντες εισήλθαν σε μια περίοδο παρακολούθησης κατά την οποία συλλέχθηκαν πληροφορίες για κάθε συμμετέχοντα για διάστημα από τουλάχιστον 4 εβδομάδες έως και 1 έτος. Κάθε συμμετέχων θα μπορούσε να συνεχίσει να λαμβάνει θεραπεία μέχρι:

- Την επιδείνωση του καρκίνου
- Την εκδήλωση ανεπιθύμητων συμβάντων που δυσκόλευε τη συνέχεια της συμμετοχής
- Οι ιατροί της μελέτης να θεωρήσουν ότι δεν επωφελούνταν από τη θεραπεία
- Να επιλέξουν να αποχωρήσουν από τη δοκιμή

Ποια ήταν τα αποτελέσματα της δοκιμής;

Αυτή είναι μια σύνοψη των κύριων αποτελεσμάτων αυτής της δοκιμής. Τα αποτελέσματα που είχε κάθε συμμετέχων μπορεί να είναι διαφορετικά και δεν περιλαμβάνονται σε αυτήν την σύνοψη. Ωστόσο, τα αποτελέσματα που είχε κάθε συμμετέχων, αποτελούν μέρος της σύνοψης των αποτελεσμάτων.

Μπορείτε να βρείτε μια πλήρη λίστα των ερωτήσεων που ήθελαν να απαντήσουν οι ερευνητές στους ιστότοπους που αναφέρονται στο τέλος αυτής της σύνοψης. Εάν υπάρχει διαθέσιμη μια πλήρης αναφορά των αποτελεσμάτων της δοκιμής, θα βρίσκεται επίσης σε αυτούς τους ιστότοπους.

Οι ερευνητές εξετάζουν τα αποτελέσματα πολλών δοκιμών για να αποφασίσουν ποιες επιλογές θεραπείας μπορεί να λειτουργούν καλύτερα και είναι καλά ανεκτές. Άλλες δοκιμές μπορεί να παρέχουν πρόσθετες πληροφορίες ή διαφορετικά αποτελέσματα. Πάντα να συζητάτε με έναν ιατρό πριν λάβετε οποιοσδήποτε αποφάσεις για τη θεραπεία.

Ποιες είναι οι ασφαλέστερες δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης όταν χορηγούνται μαζί σε παιδιά με καρκίνο;

Για να απαντήσουν σε αυτήν την ερώτηση, οι ερευνητές εξέτασαν τα αποτελέσματα

από το Μέρος 1. Οι συμμετέχοντες έλαβαν διαφορετικές δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης κατά τη διάρκεια του Μέρους 1.

Οι ιατροί της δοκιμής έλεγξαν εάν είχαν παρουσιαστεί ανεπιθύμητα συμβάντα στους συμμετέχοντες, τα οποία θα εμποδίζαν την αύξηση της δόσης της θεραπείας της δοκιμής. Αυτά τα ανεπιθύμητα συμβάντα ονομάζονται δοσοπεριοριστικές τοξικότητες ή DLT.

Οι ερευνητές, στη συνέχεια, εξέτασαν την υψηλότερη δόση που έλαβε κάθε συμμετέχων πριν από την εμφάνιση μιας DLT. Κατά τη διάρκεια της δοκιμής, κανένας από τους συμμετέχοντες δεν παρουσίασε DLT.

Με βάση τα αποτελέσματα της ασφάλειας από το Μέρος 1, οι ιατροί και οι ειδικοί αποφάσισαν ότι θα χρησιμοποιούσαν το Σχήμα Α κατά τη διάρκεια του Μέρους 2.

**Κατά τη διάρκεια του Μέρους 2, οι συμμετέχοντες
έλαβαν το Σχήμα Α**

	Σχήμα Α Κύκλοι 21 ημερών
Εριβουλίνη	1,4 mg/m ² τις ημέρες 1 και 8
Ιρινοτεκάνη	40 mg/m ² τις ημέρες 1, 2, 3, 4 και 5

Πόσο αποτελεσματικές είναι οι επιλεγμένες δόσεις εριβουλίνης και ιρινοτεκάνης σε παιδιά με RMS, NRSTS και EWS που έχει υποτροπιάσει ή τα οποία δεν έχουν ανταποκριθεί στη θεραπεία;

Για να απαντήσουν σε αυτήν την ερώτηση, οι ερευνητές εξέτασαν τα αποτελέσματα από το Μέρος 2. Οι ιατροί της δοκιμής εξέτασαν τα αποτελέσματα των σαρώσεων και συνέκριναν το μέγεθος του όγκου κάθε συμμετέχοντος πριν ξεκινήσουν τη θεραπεία της δοκιμής και αφού είχαν λάβει τη θεραπεία της δοκιμής.

- Συνολικά, 3 από 27 συμμετέχοντες είχαν παρουσιάσει μείωση του μεγέθους του όγκου. Αυτές οι ανταποκρίσεις στη θεραπεία παρατηρήθηκαν σε 1 συμμετέχοντα από τους 9, σε καθεμία από τις 3 ομάδες (RMS, NRSTS και EWS). Οι 3 συμμετέχοντες με όγκο που μειώθηκε σε μέγεθος ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία για διαφορετικά χρονικά διαστήματα. Ο συμμετέχων με RMS ανταποκρίθηκε στη θεραπεία για 2,9 μήνες, ο συμμετέχων με NRSTS ανταποκρίθηκε στη θεραπεία για 1,4 μήνες και ο συμμετέχων με EWS ανταποκρίθηκε στη θεραπεία για 15,4 μήνες.
- Συνολικά, 11 από 27 συμμετέχοντες είχαν όγκους που δεν αναπτύχθηκαν κατά τη λήψη της θεραπείας. Αυτό αντιστοιχεί στο 41% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2.

- Από 27 συμμετέχοντες, 13 ωφελήθηκαν από τη θεραπεία της δοκιμής κατά τη διάρκεια του Μέρους 2. Αυτό αντιστοιχεί στο 48% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2. Αυτοί οι 13 συμμετέχοντες είχαν όγκους που μειώθηκαν σε μέγεθος ή δεν αναπτύχθηκαν για 11 εβδομάδες ή περισσότερο.

Ποια ιατρικά προβλήματα παρουσίασαν οι συμμετέχοντες;

Τα ιατρικά προβλήματα που παρουσιάζονται στις κλινικές δοκιμές ονομάζονται «ανεπιθύμητα συμβάντα». Τα ανεπιθύμητα συμβάντα είναι κοινά και αναφέρονται συχνά κατά τη διάρκεια κλινικών δοκιμών αντικαρκινικών φαρμάκων. Ένα ανεπιθύμητο συμβάν ονομάζεται «σοβαρό» όταν είναι απειλητικό για τη ζωή, προκαλεί προβλήματα που διαρκούν ή επιβάλλει την εισαγωγή του συμμετέχοντος σε νοσοκομείο.

Αυτή η ενότητα είναι μια σύνοψη των ανεπιθύμητων συμβάντων που παρουσιάστηκαν κατά τη διάρκεια του Μέρους 1. Αυτά τα ιατρικά προβλήματα μπορεί να προκληθούν από το φάρμακο της δοκιμής ή όχι. Οι ισότοποι που αναφέρονται στο τέλος αυτής της σύνοψης μπορεί να έχουν περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τα ιατρικά προβλήματα που προέκυψαν σε αυτήν τη δοκιμή. Απαιτούνται πολλές έρευνες για να διαπιστωθεί εάν ένα φάρμακο προκαλεί ένα ιατρικό πρόβλημα.

Σε πόσους συμμετέχοντες παρουσιάστηκαν ανεπιθύμητα συμβάντα;

Στη διάρκεια του Μέρους 1, παρουσιάστηκε τουλάχιστον 1 ανεπιθύμητο συμβάν σε όλους τους συμμετέχοντες. Ο παρακάτω πίνακας δείχνει τον τύπο των ανεπιθύμητων συμβάντων που παρουσιάστηκαν στους συμμετέχοντες:

Τύπος ανεπιθύμητων συμβάντων στο Μέρος 1

	Από 7 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Α	Από 6 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Β
Σε πόσους συμμετέχοντες παρουσιάστηκαν ανεπιθύμητα συμβάντα;	7 (100%)	6 (100%)
Σε πόσους συμμετέχοντες παρουσιάστηκαν σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα;	4 (57%)	1 (17%)
Πόσοι συμμετέχοντες σταμάτησαν να λαμβάνουν το φάρμακο της δοκιμής λόγω ανεπιθύμητων συμβάντων;	0 (0%)	0 (0%)

Στη διάρκεια του Μέρους 2, παρουσιάστηκε τουλάχιστον 1 ανεπιθύμητο συμβάν σε όλους τους συμμετέχοντες. Ο παρακάτω πίνακας δείχνει τον τύπο του ανεπιθύμητου συμβάντος που παρουσιάστηκε στους συμμετέχοντες.

Τύπος ανεπιθύμητων συμβάντων στο Μέρος 2

	Από 9 συμμετέχοντες με RMS	Από 9 συμμετέχοντες με NRSST	Από 9 συμμετέχοντες με EWS
Σε πόσους συμμετέχοντες παρουσιάστηκαν ανεπιθύμητα συμβάντα;	9 (100%)	9 (100%)	9 (100%)
Σε πόσους συμμετέχοντες παρουσιάστηκαν σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα;	5 (56%)	4 (44%)	3 (33%)
Πόσοι συμμετέχοντες σταμάτησαν να λαμβάνουν το φάρμακο της δοκιμής λόγω ανεπιθύμητων συμβάντων;	2 (22%)	0 (0%)	2 (22%)

Ποια ήταν τα πιο συχνά σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα;

Στη διάρκεια του Μέρους 1, παρουσιάστηκε τουλάχιστον 1 σοβαρό ανεπιθύμητο συμβάν σε 5 από 13 συμμετέχοντες. Αυτό αντιστοιχεί στο 39% των συμμετεχόντων στο Μέρος 1. Από 13 συμμετέχοντες, 2 κατέληξαν λόγω ενός σοβαρού ανεπιθύμητου συμβάντος. Αυτό αντιστοιχεί στο 15% των συμμετεχόντων στο Μέρος 1. Αυτοί οι θάνατοι δεν σχετίζονταν με τις θεραπείες της δοκιμής.

Ο παρακάτω πίνακας παρουσιάζει τα πιο συχνά σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα που παρουσιάστηκαν στη διάρκεια του Μέρους 1. Παρουσιάστηκαν και άλλα σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα, αλλά αυτά εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες.

Πιο συχνά σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα στο Μέρος 1

	Από του 7 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Α	Από 6 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Β
Πυρετός	3 (43%)	0 (0%)
Ανάπτυξη καρκινικών κυττάρων	1 (14%)	1 (17%)

**Αποτελέσματα
κλινικής δοκιμής**

Βακτηριακή λοίμωξη στο αίμα	1 (14%)	0 (0%)
--	---------	--------

Στη διάρκεια του Μέρους 2, παρουσιάστηκε τουλάχιστον 1 σοβαρό ανεπιθύμητο συμβάν σε 12 από 27 συμμετέχοντες. Αυτό αντιστοιχεί στο 44% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2. Από 27 συμμετέχοντες, 5 κατέληξαν λόγω ενός σοβαρού ανεπιθύμητου συμβάντος. Αυτό αντιστοιχεί στο 19% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2. Αυτοί οι θάνατοι δεν σχετίζονταν με τις θεραπείες της δοκιμής.

Ο παρακάτω πίνακας παρουσιάζει τα πιο συχνά σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα που παρουσιάστηκαν σε 2 ή περισσότερους συμμετέχοντες. Παρουσιάστηκαν και άλλα σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα, αλλά αυτά εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες.

Πιο συχνά σοβαρά ανεπιθύμητα συμβάντα στο Μέρος 2

	Από 9 συμμετέχοντες με RMS	Από 9 συμμετέχοντες με NRSST	Από 9 συμμετέχοντες με EWS
Ανάπτυξη καρκινικών κυττάρων	1 (11%)	2 (22%)	0 (0%)
Πυρετός με χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	0 (0%)	1 (11%)	1 (11%)
Συσσώρευση υγρού που περιέχει καρκινικά κύτταρα γύρω από τους πνεύμονες	1 (11%)	1 (11%)	0 (0%)

Ποια ήταν τα πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα;

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 1, τα πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα ήταν χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων, χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων και έμετος.

Ο παρακάτω πίνακας παρουσιάζει τα πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα που παρουσιάστηκαν σε 6 ή περισσότερους από τους συμμετέχοντες. Παρουσιάστηκαν και άλλα ανεπιθύμητα συμβάντα, αλλά αυτά εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες.

Πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα στο Μέρος 1

	Από 7 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Α	Από 6 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Β
Χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που	5 (71%)	4 (67%)

**Αποτελέσματα
κλινικής δοκιμής**

ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα		
Χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα	4 (57%)	2 (33%)
Έμετος	2 (29%)	4 (67%)

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 2, τα πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα ήταν διάρροια, χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα και μειωμένα επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα.

Ο παρακάτω πίνακας παρουσιάζει τα πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα που παρουσιάστηκαν σε 12 ή περισσότερους από τους συμμετέχοντες στο Μέρος 2. Παρουσιάστηκαν και άλλα ανεπιθύμητα συμβάντα, αλλά αυτά εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες.

Πιο συχνά ανεπιθύμητα συμβάντα στο Μέρος 2

	Από 9 συμμετέχοντες με RMS	Από 9 συμμετέχοντες με NRSTS	Από 9 συμμετέχοντες με EWS
Διάρροια	4 (44%)	5 (56%)	5 (56%)
Χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	6 (67%)	3 (33%)	5 (56%)
Μειωμένα επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα	3 (33%)	4 (44%)	5 (56%)

Πόσοι συμμετέχοντες είχαν ανεπιθύμητες αντιδράσεις;

Οι ανεπιθύμητες αντιδράσεις είναι ιατρικά προβλήματα τα οποία οι ιατροί της δοκιμής θεώρησαν ότι προκλήθηκαν από το φάρμακο της δοκιμής. Αυτή η ενότητα αποτελεί μια σύνοψη των ανεπιθύμητων αντιδράσεων που παρουσιάστηκαν κατά τη διάρκεια αυτής της δοκιμής.

Ποιες ήταν οι πιο συχνές ανεπιθύμητες αντιδράσεις;

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 1, όλοι οι συμμετέχοντες είχαν τουλάχιστον 1 ανεπιθύμητη αντίδραση. Πολλές από τις ανεπιθύμητες αντιδράσεις ήταν ήπιας μορφής, μερικές ήταν πιο βαριάς μορφής, αλλά καμία δεν αποτέλεσε σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση.

Ο πίνακας στην επόμενη σελίδα δείχνει τις πιο συχνές ανεπιθύμητες αντιδράσεις που ήταν πιο βαριάς από ήπιας μορφής, αλλά όχι σοβαρές, και εκδηλώθηκαν σε 5 ή περισσότερους συμμετέχοντες.

Η πιο συχνή ήταν τα χαμηλά επίπεδα διαφορετικών τύπων λευκών αιμοσφαιρίων στο αίμα. Υπήρχαν και άλλες ανεπιθύμητες αντιδράσεις, αλλά αυτές εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες.

Πιο συχνές ανεπιθύμητες αντιδράσεις στο Μέρος 1

	Από 7 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Α	Από 6 συμμετέχοντες που έλαβαν το Σχήμα Β
Χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	5 (71%)	3 (50%)
Μείωση του αριθμού των λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται λευκοκύτταρα στο αίμα	2 (29%)	3 (50%)
Μείωση του αριθμού των λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	3 (43%)	2 (33%)

Κατά τη διάρκεια του Μέρους 2, 26 από 27 συμμετέχοντες είχαν τουλάχιστον 1 ανεπιθύμητη αντίδραση. Αυτό αντιστοιχεί στο 96% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2. Πολλές από τις ανεπιθύμητες αντιδράσεις ήταν ήπιας μορφής, μερικές ήταν πιο βαριάς μορφής, αλλά καμία δεν αποτέλεσε σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση.

Ο παρακάτω πίνακας δείχνει τις πιο συχνές ανεπιθύμητες αντιδράσεις που ήταν πιο βαριάς από ήπιας μορφής, αλλά όχι σοβαρές, και εκδηλώθηκαν σε 4 ή περισσότερους συμμετέχοντες.

Υπήρχαν και άλλες ανεπιθύμητες αντιδράσεις, αλλά αυτές εκδηλώθηκαν σε λιγότερους συμμετέχοντες. Η πιο συχνή ήταν τα μειωμένα επίπεδα διαφορετικών τύπων λευκών και ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα.

Πιο συχνές ανεπιθύμητες αντιδράσεις στο Μέρος 2

	Από 9 συμμετέχοντες με RMS	Από 9 συμμετέχοντες με NRSTS	Από 9 συμμετέχοντες με EWS
Μείωση του επιπέδου των λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	5 (56%)	3 (33%)	5 (56%)
Χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων που ονομάζονται ουδετερόφιλα στο αίμα	3 (33%)	2 (22%)	4 (44%)

**Αποτελέσματα
κλινικής δοκιμής**

Χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων στο αίμα	1 (11%)	1 (11%)	2 (22%)
---	---------	---------	---------

Ποιες ήταν οι πιο συχνές σοβαρές ανεπιθύμητες αντιδράσεις;

Στο Μέρος 1, 2 από 13 συμμετέχοντες παρουσίασαν μία σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση. Αυτό αντιστοιχεί στο 15% των συμμετεχόντων στο Μέρος 1. Και οι δύο αυτοί συμμετέχοντες εκδήλωσαν πυρετό ως σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση. Ένας από αυτούς τους συμμετέχοντες εκδήλωσε επίσης βακτηριακή λοίμωξη στο αίμα ως σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση. Κανένας από τους συμμετέχοντες στο Μέρος 1 δεν κατέληξε από σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση.

Στο Μέρος 2, 2 από 27 συμμετέχοντες εκδήλωσαν μια σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση. Αυτό αντιστοιχεί στο 7% των συμμετεχόντων στο Μέρος 2. Και οι δύο αυτοί συμμετέχοντες είχαν πυρετό με χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων στο αίμα ως σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση. Κανένας από τους συμμετέχοντες στο Μέρος 2 δεν κατέληξε από σοβαρή ανεπιθύμητη αντίδραση.

Πώς βοήθησε αυτή η δοκιμή τους ασθενείς και τους ερευνητές;

Σε αυτήν τη δοκιμή, οι ερευνητές έμαθαν για την ασφάλεια της εριβουλίνης και της ιρινοτεκάνης όταν χορηγήθηκαν σε παιδιά με καρκίνο. Έμαθαν επίσης πώς η εριβουλίνη και η ιρινοτεκάνη μπορεί να έχουν βοηθήσει παιδιά με RMS, NRSTS και EWS που έχουν υποτροπιάσει ή που δεν ανταποκρίνονται στη θεραπεία.

Οι ερευνητές εξετάζουν τα αποτελέσματα πολλών δοκιμών για να αποφασίσουν ποιες επιλογές θεραπείας μπορεί να λειτουργούν καλύτερα και είναι καλά ανεκτές. Αυτή η σύνοψη δείχνει μόνο τα κύρια αποτελέσματα αυτής της δοκιμής. Άλλες δοκιμές μπορεί να παρέχουν νέες πληροφορίες ή διαφορετικά αποτελέσματα.

Έχουν προγραμματιστεί περαιτέρω κλινικές δοκιμές με εριβουλίνη.

Πού μπορώ να μάθω περισσότερα για τη δοκιμή;

Μπορείτε να βρείτε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με αυτήν τη δοκιμή στους ιστότοπους που αναφέρονται παρακάτω. Εάν υπάρχει διαθέσιμη μια πλήρης αναφορά των αποτελεσμάτων της δοκιμής, θα βρίσκεται επίσης εδώ:

- <http://www.clinicaltrialsregister.eu> - Μόλις βρεθείτε στον ιστότοπο, κάντε κλικ στην επιλογή «**Home and Search**» (Αρχική σελίδα και αναζήτηση) και στη συνέχεια πληκτρολογήστε 2016-003352-67 στο πλαίσιο αναζήτησης και κάντε κλικ στην επιλογή «**Search**» (Αναζήτηση).
- <http://www.clinicaltrials.gov> - Όταν είστε σε αυτό τον ιστότοπο, πληκτρολογήστε NCT03245450 στο πλαίσιο αναζήτησης και κάντε κλικ στην επιλογή «**Search**» (Αναζήτηση).

Πλήρης τίτλος της δοκιμής: Μελέτη φάσης 1/2, μονού σκέλους, για την αξιολόγηση της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητας της μεσυλικής εριβουλίνης, σε συνδυασμό με ιρινοτεκάνη, σε παιδιά με ανθεκτικούς ή υποτροπιάζοντες συμπαγείς όγκους.

Αριθμός πρωτοκόλλου: E7389-G000-213

Η Eisai, χορηγός αυτής της δοκιμής, έχει έδρα στο Τόκιο της Ιαπωνίας και περιφερειακά κεντρικά γραφεία στο Nutley του New Jersey των ΗΠΑ και στο Hatfield, Hertfordshire του Ηνωμένου Βασιλείου. Ο αριθμός τηλεφώνου για γενικές πληροφορίες είναι +44-845-676-1400.

Σας ευχαριστούμε

Η Eisai θα ήθελε να σας ευχαριστήσει για τον χρόνο και το ενδιαφέρον σας να συμμετάσχετε σε αυτήν την κλινική δοκιμή. Η συμμετοχή σας έχει συμβάλει σημαντικά στην έρευνα και τη βελτίωση της υγειονομικής περίθαλψης.



Η Eisai Co., Ltd. είναι μια παγκόσμια φαρμακευτική εταιρεία με έδρα στην Ιαπωνία η οποία εστιάζει στον τομέα της έρευνας και ανάπτυξης. «Βασική μέριμνα είναι οι ασθενείς και οι οικογένειές τους, καθώς και η αύξηση των οφελών που παρέχει η υγειονομική περίθαλψη».

Έτσι ορίζουμε την εταιρική μας αποστολή, η οποία διέπει και τη φιλοσοφία μας για την ανθρώπινη υγειονομική περίθαλψη (HHC). Με περισσότερους από 10.000 εργαζόμενους σε όλο το παγκόσμιο δίκτυο εγκαταστάσεων Έρευνας & Ανάπτυξης, σε εργοστάσια παραγωγής και θυγατρικές μάρκετινγκ, προσπαθούμε να υλοποιήσουμε τη φιλοσοφία της για την HHC, παρέχοντας καινοτόμα προϊόντα σε πολλαπλούς θεραπευτικούς τομείς με υψηλές ανεκπλήρωτες ιατρικές ανάγκες, συμπεριλαμβανομένης της Ογκολογίας και της Νευρολογίας. Για περισσότερες πληροφορίες, επισκεφθείτε τον ιστότοπο

<http://www.eisai.com>.

synchronix

A CERTARA COMPANY

Ο Synchronix είναι ένας παγκόσμιος οργανισμός σύνταξης κειμένων ιατρικού και ρυθμιστικού περιεχομένου και δεν εμπλέκεται στην προσέλκυση συμμετεχόντων ή στη διεξαγωγή κλινικών δοκιμών.

Synchronix Headquarters 2 Righter Parkway, Suite 205 Wilmington, DE 19803
<http://www.synchronix.com> · 1-302-892-4800