

Résultats de l'étude clinique



Promoteur de la recherche :

Eisai Inc.

Médicament étudié :

Lorcasérine, aussi appelé E2023

Titre abrégé de l'étude :

Une étude visant à déterminer si la lorcasérine est efficace pour traiter les personnes atteintes du syndrome de Dravet et comprendre son profil d'innocuité

Merci

Vous ou votre enfant avez participé à cette étude clinique portant sur le médicament à l'étude E2023, aussi appelé lorcasérine. Toutes les personnes qui ont participé ont aidé les chercheurs à en apprendre davantage sur la lorcasérine et à déterminer si elle pourrait aider les personnes atteintes du syndrome de Dravet. Le **syndrome de Dravet** est une affection rare et à long terme qui touche le cerveau. Cette affection cause un type d'épilepsie prolongé et grave qui commence au cours de la première année de vie.

Eisai, une société pharmaceutique japonaise qui était le promoteur de cette étude, vous remercie de votre aide. Eisai s'engage à améliorer la santé en menant des recherches continues dans des domaines où les besoins ne sont pas satisfaits et en partageant les résultats de l'étude avec les participants.

Eisai a préparé ce résumé de l'étude et de ses résultats avec un organisme de rédaction médicale et réglementaire nommé Certara.

Si vous ou votre enfant avez participé à cette étude et que vous avez des questions sur les résultats, veuillez en discuter avec le médecin ou le personnel de votre centre d'étude.

Que s'est-il passé depuis le début de l'étude?

Au total, 22 participants de 25 centres au Canada et aux États-Unis se sont joints à l'étude.

Cette étude comportait 2 phases : la phase principale et la phase de prolongation.

Pendant la **phase principale**, 21 participants sur 22 ont pris soit la lorcasérine, soit un placebo. Un placebo ressemble à la lorcasérine, mais ne contient aucun médicament. Au total, 15 des 21 participants ont terminé leur traitement.

Parmi les 15 participants qui ont terminé la phase principale, 14 se sont joints à la **phase de prolongation**. Tous les participants ont pris de la lorcasérine pendant la phase de prolongation et ont terminé leur traitement.

L'étude a commencé en octobre 2020. En août 2024, l'étude a pris fin plus tôt que prévu. C'est parce qu'il était difficile de trouver suffisamment de participants atteints du syndrome de Dravet.

Le promoteur de l'étude a examiné les données recueillies et a créé un rapport sur les résultats. Ceci est un résumé de ce rapport.

Pourquoi la recherche était-elle nécessaire?

Les chercheurs voulaient trouver une façon différente de traiter les personnes atteintes du syndrome de Dravet. Actuellement, le seul traitement pour le syndrome de Dravet est des médicaments qui aident à maîtriser les crises.

Les chercheurs de cette étude voulaient savoir si la lorcasérine peut réduire les crises convulsives chez les personnes atteintes du syndrome de Dravet. Une **crise convulsive** signifie lorsqu'une personne perd soudainement le contrôle de son corps et commence à trembler ou à avoir des mouvements saccadés incontrôlés. Ils voulaient également savoir si les participants présentaient tout problème médical pendant l'étude.

Les questions principales auxquelles les chercheurs souhaitaient répondre lors de cette étude étaient les suivantes :

- Les participants qui ont pris de la lorcasérine ont-ils eu moins de crises convulsives toutes les 4 semaines que ceux qui ont pris un placebo?
- Quels événements indésirables les participants ayant reçu de la lorcasérine ont-ils présentés? Un événement indésirable est un problème médical qui peut être causé par le traitement à l'étude.

Il est important de savoir que cette étude a été conçue pour obtenir des réponses exactes aux questions énumérées ci-dessus. Il y avait d'autres questions auxquelles les chercheurs voulaient répondre pour en apprendre davantage sur la façon dont la lorcasérine agit, mais ce n'était pas les questions principales auxquelles l'étude voulait répondre.

De quel type d'étude s'agissait-il?

Pour répondre aux questions principales ci-dessus, les chercheurs ont demandé l'aide de participants âgés d'au moins 2 ans et ayant eu des crises convulsives en raison du syndrome de Dravet.

Parmi les participants qui ont commencé l'étude, 55 % étaient de sexe masculin et 45 % étaient de sexe féminin.

Pendant la **phase principale**, un programme informatique a été utilisé pour répartir les participants à un groupe de traitement :

- **Groupe lorcasérine** : Les participants ont pris de la lorcasérine.
- **Groupe placebo** : Les participants ont pris le placebo.

Les participants à la phase principale ont pris de la lorcasérine ou le placebo sous forme de suspension, deux fois par jour, selon leur poids corporel. Une suspension est un liquide contenant des particules solides (médicament).

La phase principale était la phase à « double insu ». Cela signifie que les participants, les médecins de l'étude, le personnel de l'étude, et le promoteur ne savaient pas si les participants ont pris de la lorcasérine ou le placebo jusqu'à ce que cette phase soit terminée. La phase principale a duré 14 semaines.

Les participants qui ont terminé la phase principale ont commencé la **phase de prolongation**. Au cours de cette phase, les participants ont pris de la lorcasérine selon de leur poids.

- **Groupe lorcasérine/lorcasérine** : Les participants qui ont pris de la lorcasérine pendant la phase principale ont continué à prendre de la lorcasérine.
- **Groupe placebo/lorcasérine** : Les participants qui ont pris le placebo pendant la phase principale sont passés à la lorcasérine.

Cette phase était « **sans insu** ». Cela signifie que les participants, les médecins de l'étude, le personnel de l'étude, et le promoteur savaient que les participants prenaient de la lorcasérine. La phase de prolongation a duré 12 semaines.

La figure ci-dessous montre comment le traitement a été administré lors de l'étude.



21 participants
ont pris au moins
1 dose du traitement à
l'étude



Les participants ont pris le
traitement à l'étude qui
leur avait été attribué sous
forme de suspension



14 semaines de traitement
dans la **phase principale**,
12 semaines dans la
phase de prolongation

Que s'est-il passé pendant l'étude?

Avant le début du traitement, les médecins de l'étude ont effectué un examen complet pour s'assurer que chaque participant pouvait participer à l'étude.

Les médecins et le personnel de l'étude ont aussi :

- confirmé que les participants ont des crises convulsives en raison du syndrome de Dravet;
- prélevé des échantillons de sang et d'urine pour réaliser des analyses;
- ont remis les journaux des crises convulsives et demandé aux participants ou à leurs aidants de les remplir.

Pendant la période de traitement de l'une ou l'autre des phases, les participants ont reçu la dose du traitement à l'étude qui leur a été attribuée (lorcasérine ou placebo) pendant 14 semaines dans la phase principale et 12 semaines dans la phase de prolongation.

Tout au long de la période de traitement, les médecins de l'étude :

- ont examiné les journaux de crises des participants pour savoir si le nombre de crises convulsives a changé avec le traitement à l'étude;
- ont posé des questions sur les problèmes médicaux présentés par les participants et sur les autres médicaments que les participants ont pris.

Environ 4 semaines après leur dernière dose dans l'une ou l'autre des phases, tous les participants sont revenus au centre d'étude. Pendant cette visite, les médecins ou le personnel de l'étude ont posé des questions sur les problèmes médicaux que les participants avaient présentés et les médicaments que les participants ont pris.

La figure ci-dessous montre comment l'étude a été menée.

Comment s'est déroulée cette étude ?

Avant la période de traitement

Les médecins ou le personnel de l'étude :

- ont vérifié l'état de santé de chaque participant pour s'assurer qu'il peut participer à l'étude;
- ont confirmé que les participants ont des crises convulsives en raison du syndrome de Dravet;
- ont remis les journaux des crises convulsives et demandé aux participants ou à leurs aidants de les remplir.

Pendant la période de traitement

Tous les participants ont pris le traitement à l'étude qui leur a été attribué.

Les médecins ou le personnel de l'étude :

- ont examiné les journaux de crises des participants pour savoir si le nombre de crises convulsives a changé avec le traitement à l'étude;
- ont posé des questions sur les problèmes médicaux présentés par les participants et sur les autres médicaments que les participants ont pris.

Après la période de traitement

Tous les participants sont revenus aux centres d'étude **4 semaines** après leur dernière dose du traitement à l'étude.

Pendant cette visite, les médecins ou le personnel de l'étude ont questionné les participants sur les problèmes médicaux qu'ils ont présentés et sur les autres médicaments qu'ils ont pris.

Quels ont été les résultats de l'étude?

Ceci est un résumé des principaux résultats de cette étude. Les résultats individuels de chaque participant étaient différents et uniques pour chacun d'eux. Les résultats individuels ne sont pas donnés séparément dans ce résumé, mais tous les résultats des participants sont résumés ensemble ici. Une liste complète des questions auxquelles les chercheurs souhaitaient répondre se trouve sur les sites Web énumérés à la fin de ce résumé. Si un rapport complet des résultats de l'étude est disponible, il peut également être trouvé sur ces sites Web.

Les chercheurs examinent les résultats de nombreuses études pour décider quelles options thérapeutiques pourraient être les plus efficaces et les mieux tolérées par les patients. D'autres études pourraient fournir de nouveaux renseignements ou des résultats différents. Consultez toujours un médecin avant de prendre toute décision relative au traitement.

Les participants qui ont pris de la lorcasérine ont-ils eu moins de crises convulsives toutes les 4 semaines que ceux qui ont pris un placebo?

Pour répondre à cette question, les médecins de l'étude ont examiné les journaux des crises convulsives des participants pendant la phase principale afin de déterminer si la lorcasérine a réduit le nombre de crises convulsives toutes les 4 semaines.

Les médecins de l'étude ont compté le nombre de crises convulsives 4 semaines avant que les **participants** commencent à prendre le traitement à l'étude et toutes les 4 semaines après avoir pris le traitement à l'étude pendant 14 semaines. Les médecins de l'étude ont ensuite comparé les résultats des participants qui ont pris de la lorcasérine à ceux qui ont pris le placebo.

Après 14 semaines de traitement dans la phase principale, les participants du groupe recevant la lorcasérine ont présenté **moins** de crises convulsives toutes les 4 semaines comparativement à ceux du groupe recevant le placebo.

Quels problèmes médicaux les participants ont-ils présentés?

Les problèmes médicaux qui surviennent chez les participants à des études cliniques sont appelés « événements indésirables ». Si les médecins de l'étude ont pensé qu'un événement indésirable a été causé par le médicament à l'étude, on appelle cela une « réaction indésirable ». Les réactions indésirables sont considérées comme « graves » si le participant doit être admis à l'hôpital, s'ils mettent la vie en danger ou s'ils causent des problèmes de santé persistants.

Cette section est un résumé des réactions indésirables qui se sont produites pendant cette étude. Les sites Web énumérés à la fin de ce résumé pourraient comporter plus de renseignements à ce sujet. Beaucoup de recherche est nécessaire pour savoir si un médicament pourrait causer un problème médical particulier.

Combien de participants ont présenté des réactions indésirables?

Le tableau ci-dessous indique combien de participants ont présenté des réactions indésirables pendant la **phase principale**.

Réactions indésirables dans la phase principale

	Sur 11 participants ayant reçu de la lorcasérine	Sur 10 participants ayant reçu le placebo
Combien de participants ont présenté des réactions indésirables?	3 (27 %)	1 (10 %)
Combien de participants ont présenté des réactions indésirables graves?	0 (0 %)	0 (0 %)
Combien de participants ont cessé de prendre la lorcasérine ou le placebo en raison des réactions indésirables?	0 (0 %)	1 (10 %)

La réaction indésirable la plus fréquente dans la **phase principale** était la diminution de l'appétit – signalée par 3 participants dans le groupe recevant la **lorcasérine**.

- Trois (3) participants du groupe recevant la lorcasérine ont aussi présenté 3 réactions indésirables différentes. Les réactions indésirables étaient une difficulté à évacuer les selles, une sensation de fatigue et un manque d'énergie.
- Un (1) participant du groupe placebo a présenté 2 réactions indésirables différentes. Les réactions indésirables étaient des crises convulsives et une sensation d'agressivité

Le tableau ci-dessous indique combien de participants ont présenté des réactions indésirables pendant la **phase de prolongation**.

Réactions indésirables pendant la phase de prolongation

	Sur 7 participants ayant reçu de la lorcasérine/lorcasérine	Sur 7 participants qui ont reçu le placebo/lorcasérine
Combien de participants ont présenté des réactions indésirables?	0 (0 %)	2 (29 %)
Combien de participants ont présenté des réactions indésirables graves?	0 (0 %)	0 (0 %)
Combien de participants ont cessé de prendre la lorcasérine ou le placebo en raison de réactions indésirables?	0 (0 %)	0 (0 %)

Deux (2) participants du groupe **placebo/lorcasérine** ont présenté des réactions indésirables. Les réactions indésirables étaient les suivantes :

- problèmes de marche
- bouger plus lentement que d'habitude
- sensation de soif
- somnolence

Comment cette étude a-t-elle aidé les patients et les chercheurs?

Dans le cadre de cette étude, les chercheurs en ont appris davantage sur la façon dont la lorcasérine pourrait avoir aidé les personnes atteintes du syndrome de Dravet. Les chercheurs examinent les résultats de nombreuses études pour décider quelles options de traitement pourraient être les plus efficaces et bien tolérées. Ce résumé ne montre que les principaux résultats de cette étude. D'autres études pourraient fournir de nouveaux renseignements ou des résultats différents.

D'autres études cliniques sur la lorcasérine ne sont pas prévues.

Où puis-je en apprendre davantage sur l'étude?

Vous trouverez de plus amples renseignements sur cette étude sur les sites Web énumérés ci-dessous. Si un rapport complet des résultats de l'étude est disponible, il se trouve également ici :

- <http://www.clinicalstudies.gov> - Une fois sur le site Web, tapez **NCT04572243** dans la boîte de recherche et cliquez sur « **Rechercher** ».

Titre complet de l'étude : Étude multicentrique, à double insu, à répartition aléatoire, contrôlée par placebo et à groupes parallèles avec une phase de prolongation sans insu évaluant la lorcasérine comme traitement d'appoint chez des sujets atteints du syndrome de Dravet

Numéro de protocole : E2023-A001-304

Eisai, le promoteur de cette étude, a son siège social à Tokyo, au Japon, et son siège social régional à Nutley, au New Jersey, États-Unis et à Hatfield, Hertfordshire, au Royaume-Uni. Les numéros de téléphone pour obtenir des renseignements généraux sont les suivants : 1 888 274-2378 (É.-U.) et 44-845-676-1400 (R.-U.).

Merci

Eisai tient à vous remercier de votre temps et de votre intérêt à participer à cette étude clinique. Votre participation a fourni une contribution précieuse à la recherche et à l'amélioration des soins de santé.



Eisai Co., Ltd. est une société pharmaceutique de recherche et développement à l'échelle mondiale dont le siège social est au Japon. Nous définissons notre mission d'entreprise comme étant « de penser en premier aux patients et aux personnes dans le domaine de la vie quotidienne, et d'augmenter les bienfaits que les soins de santé leur procurent, ainsi que de répondre à divers besoins en soins de santé à l'échelle mondiale », ce que nous appelons notre philosophie de soins de santé humanitaire (*human health care, hhc*). Avec plus de 10 000 employés travaillant dans notre réseau mondial d'établissements de recherche et développement, d'emplacements de fabrication et de filiales de marketing, nous nous efforçons de réaliser notre philosophie *hhc* en fournissant des produits novateurs dans plusieurs domaines thérapeutiques ayant des besoins médicaux importants non satisfaits, y compris l'oncologie et la neurologie. Pour de plus amples renseignements, veuillez visiter le site <http://www.eisai.com>.



Certara est un organisme international de rédaction médicale et réglementaire et ne participe pas au recrutement des participants ou à la réalisation d'études cliniques. Le siège social de Certara est situé au 4 Radnor Corporate Center, Suite 350 Radnor, PA 19087 États-Unis
<https://www.certara.com> • 1 415-237-8272