

Studio di ricerca per confrontare gli effetti del rituximab e del micofenolato mofetile, due farmaci utilizzati per il trattamento di una patologia nota come pemfigo volgare

Per il titolo completo dello studio si rimanda alla fine del presente riepilogo.

Grazie!

Grazie a tutti coloro che hanno preso parte a questo studio clinico. Il generoso contributo offerto dai partecipanti permetterà ai ricercatori di rispondere a importanti quesiti medici relativi al trattamento del pemfigo volgare. Il presente studio, chiamato PEMPHIX, è stato condotto per confrontare gli effetti del rituximab e quelli del micofenolato mofetile (o "MMF") sui sintomi del pemfigo volgare, al fine di individuare quale possa essere considerato il trattamento più efficace.

Ci auguriamo che questo riepilogo possa aiutarti a comprendere con chiarezza i risultati dello studio. Per dubbi o domande sui risultati, è possibile rivolgersi ai medici responsabili dello studio presso le strutture partecipanti alla ricerca.

Informazioni sul riepilogo

Questo riepilogo illustra i risultati dello studio osservati in pazienti con forme medie o gravi di pemfigo volgare ed è stato preparato a beneficio di:

- partecipanti allo studio
- popolazione generale

Lo studio ha avuto inizio a maggio 2015 ed è terminato a ottobre 2019. Questo riepilogo illustra i risultati emersi dallo studio fino a novembre 2018, quando tutti i partecipanti avevano assunto i farmaci dello studio per un periodo di 52 settimane.

Dopo la sospensione dei farmaci dello studio, i pazienti sono stati tenuti sotto controllo medico per altre 48 settimane. Un secondo riepilogo, con i risultati relativi al periodo di controllo, verrà pubblicato nel 2020.

Un solo studio non è sufficiente per valutare correttamente tutti i rischi e i benefici di un farmaco. Potrebbero essere necessari più partecipanti e più di uno studio per raccogliere informazioni sull'efficacia di un farmaco e sui relativi effetti collaterali. Pertanto, i risultati ottenuti da questo studio possono differire dai risultati di altri studi sullo stesso farmaco.

Per questo motivo, ti invitiamo a non prendere decisioni terapeutiche sulla base di questo riepilogo. Ti invitiamo a rivolgerti sempre al tuo medico curante prima di prendere qualsiasi decisione in merito al trattamento da seguire.

Contenuti del riepilogo

1. Informazioni generali sullo studio
2. Chi ha preso parte a questo studio?
3. Cosa è accaduto durante lo studio?
4. Quali sono stati i risultati dello studio?
5. Quali sono stati gli effetti collaterali?
6. In che modo questo studio ha aiutato la ricerca?
7. Sono in programma altri studi?
8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

Informazioni principali sullo studio

- Questo studio, chiamato PEMPHIX, è stato condotto allo scopo di confrontare gli effetti del rituximab e del micofenolato mofetile (o “MMF”), due farmaci somministrati a persone interessate da una patologia nota come “pemfigo volgare” o “PV”.
- Nel presente studio, alcune persone interessate da forme moderate o gravi di PV sono state trattate con rituximab o MMF. Ogni paziente ha ricevuto uno dei due trattamenti secondo un criterio di assegnazione casuale.
- Lo studio ha visto la partecipazione di 135 pazienti in 10 Paesi: 67 pazienti sono stati trattati con rituximab e 68 con MMF.
- In un centro degli Stati Uniti, 10 dei 135 partecipanti hanno preso parte allo studio mediante telemedicina (ovvero il medico dello studio e i pazienti hanno utilizzato un iPhone, in modo che i pazienti potessero partecipare da casa). Le informazioni fornite da questi pazienti sono state prese in considerazione per la valutazione dei risultati sulla sicurezza, ma non di quelli sull'efficacia dei farmaci.
- Lo studio ha dimostrato che, dopo 52 settimane, il 40,3% dei pazienti trattati con rituximab e il 9,5% dei pazienti trattati con MMF non mostravano i sintomi della malattia e non avevano avuto necessità di assumere steroidi per via orale per 16 settimane o più.
- Gli effetti collaterali del rituximab sono risultati simili a quelli osservati in soggetti affetti da altre malattie autoimmuni trattati con rituximab.
- Dopo la sospensione dei farmaci dello studio, i pazienti sono stati tenuti sotto controllo medico per altre 48 settimane. Entro il 2020 è prevista la pubblicazione di un secondo riepilogo con i risultati relativi al periodo di controllo

1. Informazioni generali sullo studio

Per quale motivo è stato condotto questo studio?

Il pemfigo volgare, o “PV”, causa dolorose vesciche sulla pelle e sulle membrane mucose che rivestono l'interno della bocca, del naso e dei genitali. Il PV è una malattia cosiddetta autoimmune. In condizioni di salute normali, il sistema immunitario dell'organismo genera proteine chiamate “anticorpi”, che aiutano a prevenire o contrastare le infezioni e proteggono l'organismo stesso da agenti estranei come batteri e virus. Quando una persona è affetta da una malattia autoimmune, il suo sistema immunitario produce anticorpi che, per errore, attaccano l'organismo della persona stessa. Nei pazienti affetti da PV, il sistema immunitario genera anticorpi che attaccano la pelle e le membrane mucose, causando vesciche e lesioni.

Ai pazienti affetti da PV vengono in genere prescritti farmaci che riducono l'attività del sistema immunitario, per esempio steroidi con o senza micofenolato mofetile (o "MMF"). Tuttavia, i sintomi di PV si ripresentano spesso durante o in seguito al trattamento con questi farmaci e possono avere gravi effetti collaterali.

Uno studio clinico ha dimostrato che la somministrazione combinata di rituximab e steroidi è più sicura ed efficace dei soli steroidi nel trattamento del PV. Sulla base dei risultati ottenuti da questo studio, la prescrizione del rituximab per il trattamento di forme moderate o gravi di PV è stata approvata negli Stati Uniti nel 2018 e in Europa nel 2019.

Il MMF è disponibile in tutto il mondo per il trattamento di altre malattie, ma non è stato approvato per il trattamento del PV. Poiché gli steroidi possono avere gravi effetti collaterali, i medici spesso somministrano il MMF ai pazienti affetti da PV insieme agli steroidi, in modo da ridurre il dosaggio. Il presente studio, intitolato PEMPHIX, è stato realizzato per confrontare gli effetti (positivi e negativi) del rituximab e quelli del micofenolato mofetile (o "MMF") sui sintomi del PV, al fine di individuare quale potesse essere il trattamento più efficace.

Qual era il farmaco oggetto dello studio?

I pazienti sono stati assegnati in modo casuale (modalità di assegnazione chiamata "randomizzazione") a uno dei due gruppi dello studio: il primo gruppo riceveva una somministrazione di rituximab direttamente in vena (infusione endovenosa), il secondo assumeva compresse di MMF per via orale.

Il rituximab agisce riducendo il numero di cellule B presenti nel sangue e in altri tessuti. Le cellule B sono un tipo di globuli bianchi appartenenti al sistema immunitario e aiutano l'organismo a combattere le infezioni. Nei soggetti affetti da PV, le cellule B producono gli anticorpi che sono all'origine dei sintomi. Il rituximab potrebbe alleviare i sintomi del PV riducendo il numero di cellule B che producono questi anticorpi.

Il rituximab (presente in commercio con il nome di Rituxan[®] o MabThera[®]) è già stato approvato per il trattamento delle seguenti patologie:

- pemfigo volgare (non era ancora stato approvato per il trattamento di questa malattia quando era stato avviato lo studio PEMPHIX);
- due tipi di malattie autoimmuni dei vasi sanguigni, note come poliangioite granulomatosa e poliangioite microscopica;
- artrite reumatoide, una malattia autoimmune delle articolazioni;
- un tipo di tumore del sangue chiamato linfoma non Hodgkin;
- un tipo di tumore del sangue chiamato leucemia linfatica cronica.

Il farmaco MMF è stato approvato in tutto il mondo per la somministrazione a pazienti sottoposti a trapianti di reni, cuore o fegato, al fine di prevenire il rigetto dell'organo trapiantato. È stato inoltre valutato l'utilizzo del MMF in pazienti interessati da malattie autoimmuni; tuttavia, il farmaco non è stato approvato per il trattamento del PV. Diversi studi clinici minori hanno dimostrato che il MMF può rivelarsi utile per i pazienti con PV, arrestando la produzione di anticorpi da parte delle cellule B e consentendo ai pazienti di

assumere dosi inferiori di steroidi, riducendo così il rischio di effetti collaterali associati al loro uso.

I partecipanti allo studio PEMPHIX assumevano steroidi per trattare il PV all'inizio dello studio. Nel corso dello studio, i pazienti hanno continuato ad assumere steroidi, con l'aggiunta di rituximab o MMF. Al migliorare dei sintomi della malattia, la dose di steroidi è stata gradualmente ridotta. L'obiettivo era consentire ai pazienti di sospendere completamente l'assunzione di steroidi.

Né i pazienti né i medici dello studio sapevano quale trattamento stesse ricevendo ogni paziente. I pazienti assegnati al trattamento con infusioni endovenose di rituximab hanno assunto inoltre una compressa placebo simile a MMF ma priva di principi attivi. I pazienti assegnati al trattamento con MMF hanno ricevuto inoltre infusioni endovenose di placebo, una sostanza che non contiene alcun principio attivo, ma ha lo stesso aspetto e la stessa modalità di somministrazione del nuovo farmaco.

Qual era l'obiettivo dei ricercatori?

I ricercatori hanno condotto questo studio per confrontare il rituximab e il MMF, valutare l'efficacia dei farmaci e verificare se il rituximab fosse più efficace del MMF (vedere la sezione 4 "Quali sono stati i risultati dello studio?").

Volevano inoltre verificare la sicurezza dei farmaci e vedere quanti pazienti avrebbero manifestato effetti collaterali durante lo studio (vedere la sezione 5 "Quali sono stati gli effetti collaterali?").

La domanda più importante a cui i ricercatori desideravano dare risposta era:

1. Dopo 52 settimane di trattamento, quanti dei pazienti trattati in ciascuno dei due gruppi hanno raggiunto la remissione completa della malattia?

Sono stati considerati in "remissione completa" i pazienti in cui, per 16 settimane consecutive o più, la pelle e le membrane mucose sono rimaste sane e la malattia inattiva senza assunzione di steroidi da parte del paziente stesso.

Ecco alcune altre domande a cui i ricercatori volevano dare risposta:

2. Quanti steroidi hanno assunto in totale i pazienti assegnati a ciascuno dei due gruppi durante le 52 settimane di trattamento nell'ambito dello studio?
3. Quante riacutizzazioni si sono verificate in totale in ciascun gruppo?

Per "riacutizzazione" si intendeva la comparsa di 3 o più nuove lesioni in un mese che non guarissero spontaneamente entro 1 settimana, o l'aggravarsi di lesioni preesistenti in pazienti in cui la malattia era sotto controllo. La malattia veniva definita "sotto controllo" in assenza di nuove lesioni e nel momento in cui le lesioni preesistenti iniziavano a guarire.

4. In che modo i farmaci dello studio influenzano la qualità della vita dei pazienti in termini di salute?

Di che tipo di studio si è trattato?

Si è trattato di uno studio di "**Fase 3**". Ciò significa che, prima di questo studio, il rituximab era già stato somministrato ad un numero inferiore di pazienti con PV. In questo studio, un maggior numero di pazienti con PV è stato trattato con rituximab o MMF al fine di verificare se il rituximab fosse più efficace del MMF.

Si è trattato di uno studio "**randomizzato**". Ciò significa che è stato stabilito in modo del tutto casuale quale dei due farmaci sarebbe stato somministrato a ciascun partecipante allo studio.

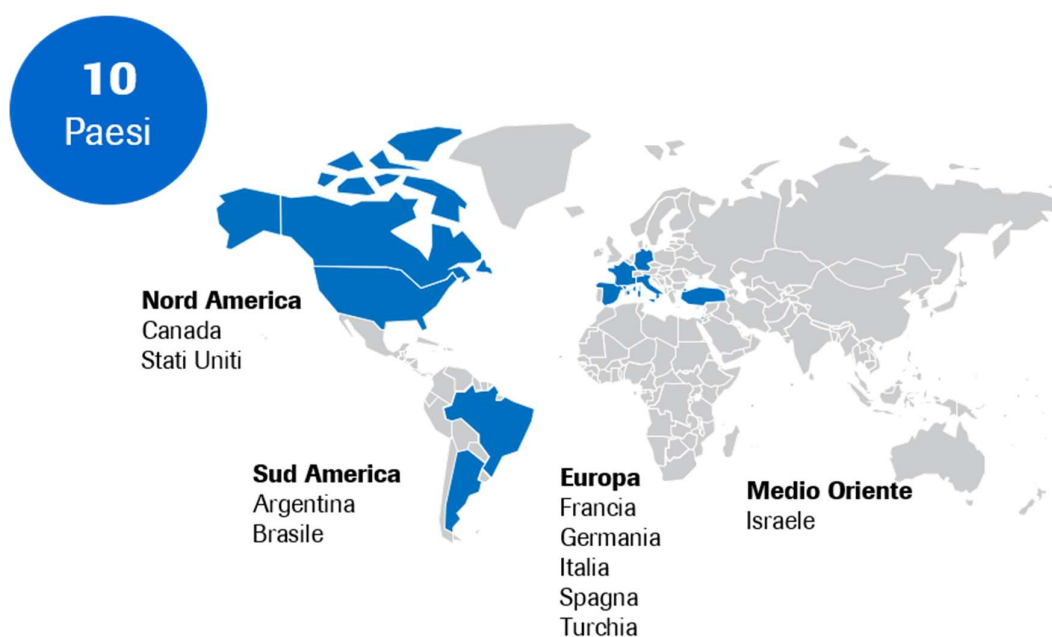
Questo studio è stato condotto "**in doppio cieco**". Ciò significa che né i partecipanti allo studio né i medici dello studio sapevano quale farmaco venisse somministrato a quali pazienti.

Questo studio è stato condotto "**con doppio placebo**" ("double dummy"), un metodo utilizzato per confrontare farmaci differenti (ad esempio, un'infusione endovenosa e una compressa). Ciò significa che a ciascun partecipante allo studio è stato somministrato uno dei farmaci dello studio e anche un placebo (o "dummy"), ovvero una sostanza che non contiene alcun principio attivo, ma ha lo stesso aspetto e la stessa modalità di somministrazione dell'altro farmaco in studio.

Quando e dove è stato condotto lo studio?

Lo studio ha avuto inizio a maggio 2015 ed è terminato a ottobre 2019. Questo riepilogo illustra i risultati ottenuti fino a novembre 2018 e i risultati complessivi del periodo di trattamento di 52 settimane nell'ambito dello studio.

Lo studio è stato condotto in 49 centri di ricerca in 10 Paesi tra Europa, Medio Oriente, Nord America e Sud America, come indicato nella mappa sottostante.



2. Chi ha preso parte a questo studio?

Hanno partecipato a questo studio 135 pazienti affetti da PV. In un centro degli Stati Uniti, 10 di questi 135 pazienti hanno preso parte allo studio mediante la telemedicina (il medico dello studio e i pazienti hanno utilizzato un iPhone, in modo che i pazienti potessero partecipare da casa), per dare la possibilità al medico dello studio di comunicare con i pazienti e di seguirli da un punto di vista medico, e ai pazienti stessi di partecipare più facilmente.

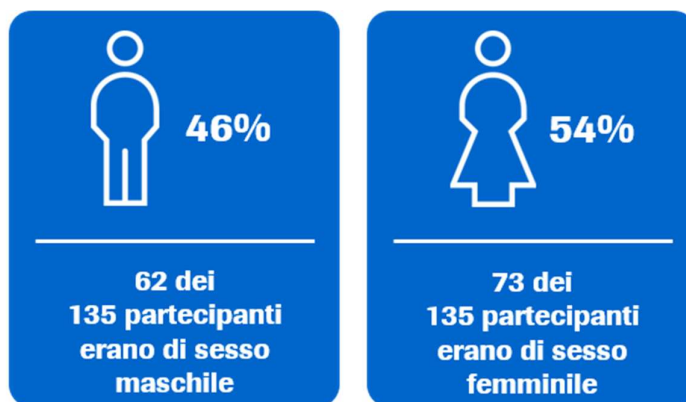
I pazienti potevano partecipare allo studio se:

- avevano ricevuto una diagnosi di PV nei 24 mesi precedenti;
- erano interessati da PV in forma moderata o grave;
- avevano assunto solo steroidi e avrebbero potuto trarre beneficio dall'aggiunta di rituximab o MMF alla loro terapia.

I pazienti non potevano partecipare allo studio se:

- erano interessati da altre forme di pemfigo o di malattia autoimmune con vesciche diversi dal PV;
- avevano manifestato reazioni allergiche al rituximab, a MMF o agli steroidi;
- erano interessati da HIV, epatite B o epatite C;
- avevano infezioni attive di qualsiasi tipo (ad eccezione della micosi alle unghie).

Di seguito sono riportate maggiori informazioni sui pazienti che hanno preso parte allo studio.



Fascia d'età dei partecipanti: dai 23 ai 75 anni

3. Cosa è accaduto durante lo studio?

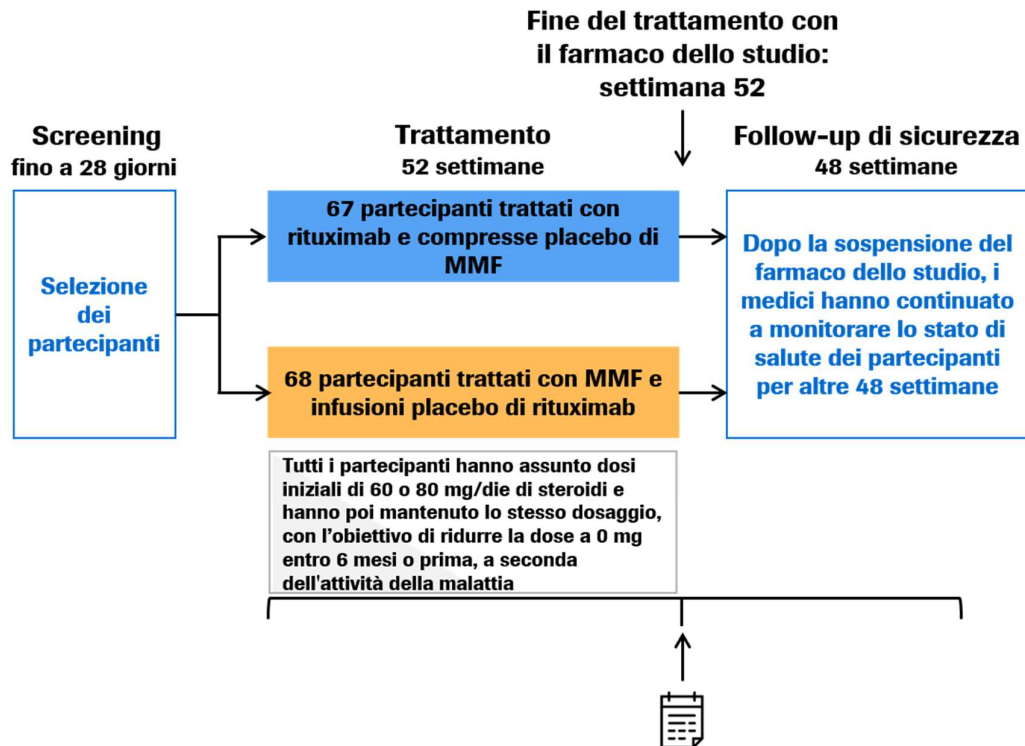
I partecipanti allo studio sono stati assegnati casualmente (per randomizzazione tramite computer) ad uno dei 2 trattamenti.

I 2 gruppi di trattamento erano:

- **Rituximab** (il farmaco dello studio): somministrato per infusione endovenosa il giorno 1 e 15, e di nuovo nelle settimane 24 e 26. I pazienti appartenenti a questo gruppo hanno assunto anche una compressa placebo simile a MMF ma che non conteneva alcun principio attivo.
- **MMF** (il farmaco di confronto): compressa assunta per via orale due volte al giorno. I pazienti appartenenti a questo gruppo hanno ricevuto anche un'infusione di placebo simile al rituximab ma che non conteneva alcun principio attivo.

I partecipanti allo studio che già assumevano **steroidi** per via orale, hanno continuato ad assumerli, con l'aggiunta di rituximab o MMF. Al migliorare dei sintomi della malattia, la dose di steroidi è stata gradualmente ridotta. L'obiettivo era consentire ai pazienti di sospendere completamente l'assunzione di steroidi entro la settimana 24 o prima, se possibile.

L'immagine sottostante mostra cosa è accaduto nel corso dello studio.



Per screening si intende il periodo in cui i pazienti hanno completato tutte le valutazioni mediche necessarie per definire se fossero idonei a partecipare.

Il simbolo sulla linea del tempo (📅) indica il momento in cui sono state raccolte le informazioni contenute nel presente riepilogo, dopo che tutti i pazienti avevano terminato il periodo di trattamento di 52 settimane (novembre 2018).

Dopo la sospensione dei farmaci dello studio, i pazienti sono stati tenuti sotto controllo medico per altre 48 settimane (periodo definito "follow-up di sicurezza"). Il follow-up di sicurezza dello studio è terminato a ottobre 2019. Entro il 2020 è prevista la pubblicazione di un secondo riepilogo con i risultati di questo follow-up di sicurezza.

4. Quali sono stati i risultati dello studio?

Questa sezione illustra soltanto i risultati principali ottenuti dallo studio durante il periodo di trattamento di 52 settimane. Le informazioni sugli altri risultati ottenuti nel periodo di trattamento di 52 settimane sono disponibili sui siti internet elencati alla fine del riepilogo (vedere la sezione 8).

I 10 pazienti che hanno partecipato in modalità di telemedicina (5 nel gruppo rituximab e 5 nel gruppo MMF) non sono stati inclusi nei risultati relativi all'efficacia del rituximab e del MMF, poiché i medici hanno potuto fare affidamento esclusivamente su fotografie e video per valutare la loro risposta al trattamento. Tutti gli altri pazienti sono stati invece visitati di persona dai medici dello studio. I 10 pazienti in telemedicina hanno comunque contribuito alla formulazione dei risultati relativi agli effetti collaterali (risultati di sicurezza, vedere la sezione 5). Sono stati dunque analizzati i dati di 125 pazienti per i risultati di efficacia e di 135 pazienti per i risultati di sicurezza.

Domanda 1: Dopo 52 settimane di trattamento, quanti pazienti in ciascuno dei due gruppi di trattamento hanno raggiunto la remissione completa?

Sono stati considerati in "remissione completa" i pazienti in cui, per 16 settimane consecutive o più, la pelle e le membrane mucose sono rimaste sane e la malattia inattiva senza assunzione di steroidi da parte del paziente.

Dopo 52 settimane di trattamento, il 40,3% dei soggetti trattati con rituximab ha raggiunto la remissione completa e sostenuta in assenza di steroidi per almeno 16 settimane, rispetto al 9,5% dei soggetti trattati con MMF. Questo risultato è considerato statisticamente rilevante in quanto ha dimostrato che il rituximab si è rivelato più efficace del MMF.

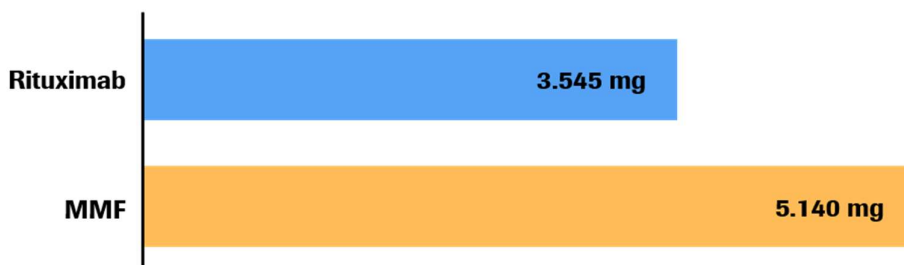
Numero di pazienti che alla settimana 52 hanno raggiunto la remissione completa e sostenuta in assenza di steroidi per almeno 16 settimane



Domanda 2: Quanti steroidi hanno assunto in totale i pazienti assegnati a ciascuno dei due gruppi durante le 52 settimane di trattamento nell'ambito dello studio?

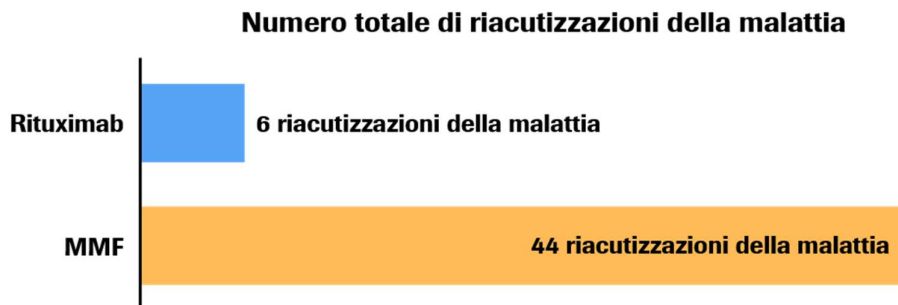
Nel periodo di trattamento di 52 settimane, i pazienti assegnati al gruppo rituximab hanno assunto in totale per via orale una quantità di steroidi significativamente inferiore a quella assunta dai soggetti del gruppo MMF. In media, i pazienti trattati con rituximab hanno assunto un totale di 3.545 mg di steroidi, mentre i pazienti trattati con MMF hanno assunto un totale di 5.140 mg

Quantità totale media di steroidi assunti per via orale durante il periodo di trattamento di 52 settimane



Domanda 3: Quante riacutizzazioni di malattia si sono verificate in totale in ciascuno dei due gruppi?

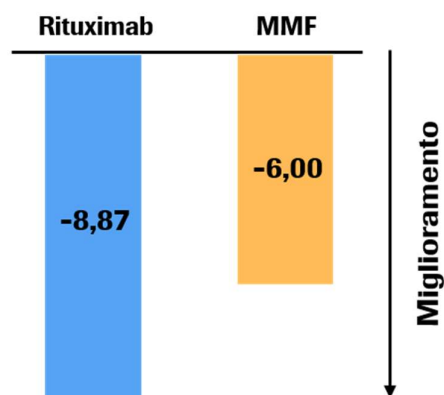
I pazienti trattati con rituximab hanno avuto un numero significativamente inferiore di riacutizzazioni di malattia rispetto ai pazienti trattati con MMF (6 contro 44).



Domanda 4: In che modo i farmaci dello studio influenzano la qualità della vita dei pazienti in termini di salute?

I ricercatori hanno chiesto ai pazienti di compilare un questionario denominato Dermatology Life Quality Index per valutare la loro qualità della vita nel corso dello studio. Alla settimana 52, i pazienti trattati con rituximab hanno ottenuto miglioramenti della qualità della vita in termini di salute decisamente più significativi rispetto ai pazienti trattati con MMF.

Variazione del punteggio Dermatology Life Quality Index dall'inizio dello studio alla settimana 52



5. Quali sono stati gli effetti collaterali?

Nel presente studio, tutti i pazienti che hanno assunto almeno una dose dei farmaci dello studio, compresi i pazienti che hanno partecipato in telemedicina, sono stati tenuti sotto controllo per verificare la presenza di eventuali effetti collaterali.

Non tutti i pazienti che hanno preso parte allo studio hanno manifestato effetti collaterali.

Effetti collaterali del rituximab

Gli effetti collaterali più comuni

Gli effetti collaterali di rituximab sono eventi medici indesiderati che si sono verificati in almeno il 5% dei pazienti e che il medico dello studio considera riconducibili all'assunzione di rituximab.

Di seguito è possibile leggere il dettaglio degli effetti collaterali durante il periodo di trattamento (52 settimane):

Effetto collaterale	Pazienti trattati con rituximab (67 pazienti in totale)
Reazione all'infusione	22% (15 su 67)
Mal di testa	15% (10 su 67)
Infezione del naso, della gola e delle alte vie respiratorie (infezione delle vie respiratorie superiori)	10% (7 su 67)
Infezione del naso e della gola, nota anche come "raffreddore comune"	9% (6 su 67)
Candidosi orale: infezione da fungo a bocca o gola	9% (6 su 67)
Dolori articolari	9% (6 su 67)
Mal di schiena	9% (6 su 67)
Infezione dei reni, della vescica o dei condotti che trasportano l'urina fuori dal corpo (infezione delle vie urinarie o "IVU")	8% (5 su 67)
Senso di stanchezza	8% (5 su 67)
Senso di vertigine	6% (4 su 67)
Senso di debolezza	6% (4 su 67)

Effetti collaterali gravi

In 3 dei 15 pazienti che hanno manifestato reazioni all'infusione, la reazione ha rappresentato un pericolo di vita per i pazienti. I pazienti hanno ricevuto le cure necessarie e la reazione è stata arginata, ma il trattamento di questi pazienti con rituximab è stato interrotto.

Per 1 dei 7 pazienti colpiti da infezione delle vie respiratorie superiori si è reso necessario il ricovero ospedaliero.

Effetti collaterali del MMF

Gli effetti collaterali più comuni

Gli effetti collaterali del MMF sono eventi medici indesiderati che il medico dello studio considera riconducibili all'assunzione di MMF.

Gli effetti collaterali del MMF riferiti più frequentemente sono stati infezioni del naso, della gola, delle alte vie respiratorie, delle vie urinarie, dello stomaco e dell'intestino. Queste infezioni hanno colpito 11 pazienti su 68 (il 16,2% dei pazienti). Altri effetti collaterali frequenti del MMF sono stati disturbi di stomaco con presenza di feci molli, dolore addominale (tra il petto e la regione pelvica), nausea (senso di vomito) e costipazione. Questi disturbi di stomaco hanno colpito 9 pazienti su 68 (il 13,2% dei pazienti).

Effetti collaterali gravi

Per 5 pazienti che hanno riportato eventi medici riconducibili all'assunzione di MMF si è reso necessario il ricovero ospedaliero.

3 di questi 5 pazienti sono stati colpiti da infezioni: 1 paziente ha sviluppato un'infezione dei polmoni e una forma influenzale, 1 paziente ha contratto il fuoco di Sant'Antonio e 1 paziente ha visto aggravarsi la patologia cronica ai polmoni da cui era già interessato e che bloccava l'afflusso di aria ai polmoni. Degli altri 2 pazienti ricoverati in ospedale, 1 ha sviluppato un'ulcera cutanea e l'altro un blocco urinario.

6. In che modo questo studio ha aiutato la ricerca?

Le informazioni illustrate in questo riepilogo sono il risultato di un singolo studio condotto su soggetti affetti da PV in forma moderata o grave. Questi risultati hanno permesso ai ricercatori di ottenere maggiori informazioni sull'efficacia e sulla sicurezza di rituximab ai fini del trattamento di pazienti affetti da PV in forma moderata o grave rispetto al MMF.

Nel complesso, lo studio ha dimostrato che rituximab è più efficace del MMF nel trattamento del PV. In totale, il 40,3% dei pazienti trattati con rituximab ha raggiunto la remissione completa e sostenuta della malattia, in assenza di steroidi (ovvero la cute e le membrane mucose erano guarite e, in assenza di steroidi, la malattia era stata inattiva per 16 settimane consecutive o più), rispetto al 9,5% dei pazienti trattati con MMF. I pazienti trattati con rituximab hanno assunto una quantità inferiore di steroidi, hanno avuto minori fenomeni di riacutizzazione della malattia e hanno ottenuto miglioramenti più significativi della qualità della vita rispetto ai pazienti trattati con MMF. Gli effetti collaterali del rituximab in pazienti affetti da PV sono risultati simili a quelli osservati in pazienti trattati con rituximab per altre malattie autoimmuni quali artrite reumatoide, poliangerite granulomatosa e poliangerite microscopica.

Un solo studio non è sufficiente per valutare correttamente tutti i rischi e i benefici di un farmaco. Potrebbero essere necessari più partecipanti e più di uno studio per raccogliere informazioni sull'efficacia di un farmaco e sui relativi effetti collaterali. Pertanto, i risultati ottenuti da questo studio possono differire dai risultati di altri studi sullo stesso farmaco.

- Per questo motivo, ti invitiamo a non prendere alcuna decisione terapeutica sulla base di questo riepilogo e ti invitiamo a consultare sempre il tuo medico curante prima di prendere decisioni in merito al trattamento da seguire.

7. Sono in programma altri studi?

In Francia è in corso uno studio di ricerca, condotto dal Gruppo di studio francese per le malattie autoimmuni bollose, che valuta l'efficacia e la sicurezza del rituximab per il trattamento di pazienti affetti da pemfigo delle membrane mucose.

Nel momento in cui è stato redatto questo riepilogo, Roche non aveva in previsione di condurre altri studi sul trattamento di PV con rituximab.

8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

Sono disponibili ulteriori informazioni sullo studio in questi siti web:


- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02383589>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2014-000382-41>
- <https://forpatients.roche.com/>
- <https://peripazienti.roche.it/it/trials/autoimmune-disorder/a-study-to-evaluate-the-efficacy-and-safety-of-rituxima-33498.html>

Chi posso contattare in caso di dubbi o domande su questo studio?

Per altre domande su questo riepilogo:

- Visita il sito internet ForPatients: <https://forpatients.roche.com/> Fai clic su



nell'angolo in basso a destra e poi su , quindi compila il modulo di contatto.

- Contatta Roche Italia tramite la sezione “Contatti” del sito internet Roche.it

Se hai partecipato a questo studio e hai delle domande sui risultati o sul trattamento che ti è stato somministrato:

- rivolgiti al medico responsabile dello studio o al personale dell'ospedale o della clinica dello studio.

Se hai delle domande sul tuo trattamento per il PV:

- rivolgiti al medico responsabile della gestione delle tue terapie.

Chi ha organizzato e finanziato questo studio?

Questo studio è stato organizzato e finanziato da F. Hoffmann-La Roche Ltd, con sede centrale a Basilea, Svizzera.

Titolo completo dello studio e altre informazioni di identificazione

Il titolo completo di questo studio è:

Studio multicentrico randomizzato in doppio cieco con doppio placebo e con comparatore attivo per valutare l'efficacia e la sicurezza del rituximab rispetto a MMF in pazienti affetti da pemfigo volgare.

Lo studio è noto come "PEMPHIX".

Il numero di protocollo dello studio è: WA29330.

Il numero identificativo ClinicalTrials.gov dello studio è: NCT02383589.

Il numero EudraCT dello studio è: 2014-000382-41.