

임상시험 결과 요약

루푸스 환자에서 페네브루티닙 투여의 장기적 영향 임상시험

시험의 전체 제목은 본 요약서의 마지막 부분을 참고하십시오.

본 요약서에 대한 정보

이는 임상시험(본 문서에서 “시험”이라 함)의 결과 요약서입니다.

본 요약서는 다음 대상자를 위해 작성했습니다.

- 일반 대중.
- 시험대상자 – 이 시험에 참여한 환자들입니다.

본 요약서는 작성 시점에 알려진 정보에 근거합니다.

본 시험은 2018년 1월에 시작하여 2019년 11월에 종료되었습니다. 본 요약서는 시험이 종료된 후 작성되었습니다.

하나의 시험으로 약물의 위험과 이익에 대한 모든 정보를 알 수는 없습니다.

저희가 알아야 할 모든 사항을 알아내려면 여러 시험에서 많은 사람들의 참여가 필요합니다.

본 시험에서 얻은 결과는 동일한 약물을 사용하는 다른 시험의 결과와 다를 수 있습니다.

- 이는 본 요약서 하나에 근거하여 결정을 내려서는 안 된다는 것을 의미합니다.
- 귀하의 치료에 대해 일체의 결정을 내리기 전에 항상 담당 의사와 상의하십시오.

본 시험에 참여하신 분들께 감사드립니다.

시험에 참여하신 분들은 연구자들이 루푸스 및 페네브루티닙에 대한 중요한 궁금점에 답하는 데 도움을 주셨습니다.

요약서 내용

1. 본 시험에 대한 일반 정보
2. 누가 본 시험에 참여했습니까?
3. 시험 기간 동안 어떤 일이 발생했습니까?
4. 시험의 결과는 어떠했습니까?
5. 부작용은 어떤 것이었습니까?
6. 본 시험이 연구에 어떤 도움이 되었습니까?
7. 다른 시험 계획이 있습니까?
8. 어디에서 더 많은 정보를 확인할 수 있습니까?

본 시험에 대한 주요 정보

- 본 시험은 페네브루티닙이 장기간에 걸쳐 루푸스 환자들에게 안전하고 효과가 있는지 알아보기 위해 실시되었습니다.
- 이전에 다른 시험에 참여한 적이 있었던 환자들이 본 시험에 참여할 수 있었습니다. 이전 시험에서 환자들은 페네브루티닙 또는 위약(페네브루티닙과 같아 보이지만 약물이 함유되지 않은 알약)을 투여받았습니다.
- 본 시험에는 11개국에서 160명의 환자들이 참여했습니다.
- 본 시험에서 페네브루티닙은 환자들이 견디기에 충분히 안전했다는 것이 주된 관찰 결과였습니다.
- 페네브루티닙을 복용한 160명의 환자들 중 4명(3%)이 본 시험에서 시험약과 관련되지 않은 중대한 부작용을 경험했습니다.
- 본 시험은 이전 시험이 완료된 후 약 4개월이 지나 조기에 중단되었습니다. 임상시험 의뢰자는 루푸스 환자에서 페네브루티닙의 영향에 대하여 충분한 정보를 얻었기에 본 시험을 계속할 필요가 없다고 결정했습니다.

1. 본 시험에 대한 일반 정보

본 시험을 실시한 이유는 무엇이었습니까?

전신홍반루푸스(루푸스)는 면역체계가 본인의 신체를 손상시키는 “자가면역 질환”입니다.

이 질환은 관절 통증, 부종, 피부 발진, 구강 궤양, 극심한 피로감을 포함한 많은 증상들을 수반합니다. 일부 환자들은 뇌와 신장을 침범하는 매우 중대한 형태의 질환을 앓게 됩니다.

루푸스 치료에 사용할 수 있는 여러 약물들이 있습니다. 때때로 이러한 약물들은 환자에 대한 효력을 상실할 수 있습니다. 연구자들은 새로운 약물을 찾기 위해 노력하고 있습니다.

페네브루티닙은 “브루톤 티로신 키나아제(Bruton’s tyrosine kinase)” 또는 약어로 “BTK”라는 단백질을 차단하는 시험약입니다. 이는 루푸스와 같은 자가면역 질환을 야기하는 면역세포에 영향을 미칩니다.

연구자들은 루푸스 환자에서 페네브루티닙의 장기적인 영향(좋은 영향이든 나쁜 영향이든)을 살펴보기 위해 본 시험을 실시했습니다.

시험약은 무엇이었습니까?

GDC-0853이라고도 하는 페네브루티닙은 다른 시험들에서 사람들에게 투여된 적이 있는 약물입니다. 약물이 작용하는 방식은 다음과 같습니다.

- 페네브루티닙은 “**BTK**”라는 단백질을 차단합니다.
- BTK는 신체 내 여러 유형의 면역세포에 존재합니다.
- BTK의 차단은 면역세포가 오작동 하는 것과 자가면역 질환을 야기하는 것을 막습니다.
- 연구자들은 인체에서 이미 여러 용량의 페네브루티닙을 시험했습니다.
- 페네브루티닙은 다른 자가면역 질환 환자들에서 이익을 나타냈습니다.

연구자들은 무엇을 알아내고자 했습니까?

이 임상시험의 환자들은 이전에 페네브루티닙을 위약과 비교한 다른 시험에 참여한 적이 있었습니다.

- 이전 시험에 참여했던 환자들이 본 시험에 참여했습니다.
- 이전 시험에 참여하는 동안, 환자들은 페네브루티닙 또는 위약을 투여받았습니다.
- 본 시험에서는 모든 환자들이 페네브루티닙을 투여받았습니다.
- 이전 시험의 모든 환자들이 본 시험에 참여한 것은 아니었습니다.

연구자들은 다음의 주된 질문에 대한 답을 얻고자 했습니다.

1. 페네브루티닙은 루푸스 환자들에게 투여했을 때 장기간에 걸쳐 안전한가?

연구자들이 답을 얻고자 한 다른 질문은 다음과 같았습니다.

2. 페네브루티닙은 루푸스 환자들에게 효과가 있는가?

어떤 종류의 시험이었습니까?

제2상 임상시험

이 제2상 임상시험은 시험약(페네브루티닙)이 환자들에게 안전하고 효과가 있는지 알아보기 위해 실시했습니다. 이 약물은 이미 인체 사용에 안전한 용량을 찾기 위한 제1상 임상시험들에서 연구된 바 있었습니다. 본 시험에서는 모든 환자가 페네브루티닙을 투여받았습니다.

공개 연장 임상시험

연구자들과 환자들은 모든 환자가 시험약을 투여받고 있음을 알고 있었으며, 따라서 본 시험은 “공개” 임상시험이었습니다.

이는 환자들이 이미 이전 시험(다른 치료와 함께 페네브루티닙을 조사한)에 참여한 적이 있었으므로 “연장” 임상시험이었습니다. 본 시험에는 이전 시험을 완료했던 환자들이 등록되었습니다.

시험은 언제, 어디에서 실시되었습니까?

본 시험은 2018년 1월에 시작하였고, 의뢰자가 이전 시험에서 얻은 정보가 충분하여 본 시험을 계속하는 것이 불필요하다고 결정했기 때문에 원래 계획된 시기보다 더 일찍 중단되었습니다.

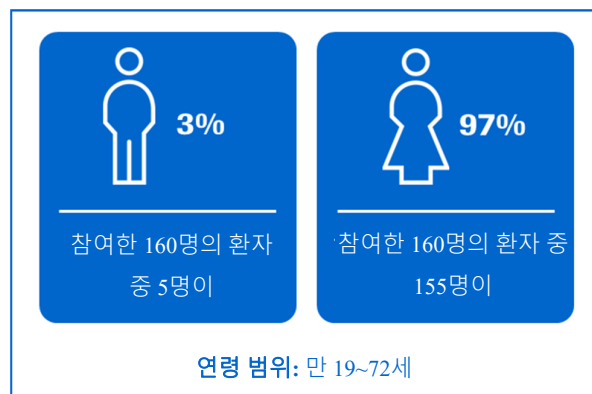
본 요약서에서는 시험이 중단된 2019년 11월까지의 시험 결과를 제시합니다.

본 시험은 다음과 같이 11개국 49개 시험기관에서 수행되었습니다.

- 아르헨티나(4개 기관)
- 브라질(8개 기관)
- 불가리아(5개 기관)
- 칠레(4개 기관)
- 콜롬비아(5개 기관)
- 영국(1개 기관)
- 멕시코(5개 기관)
- 한국(1개 기관)
- 스페인(3개 기관)
- 대만(2개 기관)
- 미국(11개 기관)

2. 누가 본 시험에 참여했습니까?

160명의 루푸스 환자들이 본 시험에 참여했습니다.



다음에 해당하는 사람은 시험에 참여할 수 있었습니다.

- 만 18~76세 사이.
- 본 시험 참여 중 임신을 방지하기 위해 피임법을 사용하는 데 동의한 남성 및 여성.
- 중등도 내지 중증으로 간주된 루푸스를 앓고 있었음.
- 이전 시험을 완료했음.
- 이전 시험 참여 중 시험약 투여와 병용하여 정규 루푸스 약물을 투여함.
- 이전 시험 참여하는 동안 투여된 시험약을 몸이 견딜 수 있는 것으로 나타남.

다음에 해당하는 사람은 시험에 참여할 수 없었습니다.

- 부작용으로 인해 이전 시험에서 시험약 투여를 중단해야 했음.
- 이전 시험 참여 이후 새로운 질병(루푸스 외)이 발생함.
- 혈액 검사 결과 또는 의학적 검진에서 본 시험 참여가 안전하지 않을 것으로 나타남.
- 이전 시험 참여 중 허용되지 않은 약물을 사용함.

3. 시험 기간 동안 어떤 일이 발생했습니까?

어떤 투여가 이루어졌습니까

- 모든 환자들은 1일 2회 복용하는 페네브루티닙 200 mg으로 동일한 투여를 받았습니다.
- 시험약은 정규 루푸스 약물에 추가하여 환자들에게 투여되었습니다.

투여가 시작된 후 어떤 일이 발생했습니까?

- 환자들은 48주 동안 시험약을 투여받았습니다.
- 어떤 날에는 환자들이 병원에 내원하여 시험약을 투여받기도 했습니다. 이 방문 시간 동안, 환자들은 시험을 위해 혈액 검체를 제공하고 기타 검사를 받았습니다. 연구자들이 시험약 투여의 영향에 대해 알아낼 수 있도록, 환자들은 질문에 답변했습니다.
- 환자들은 48주 투여가 종료된 후 8주 동안 추적관찰을 받았습니다.

시험의 조기 중단 이유

- 임상시험 의뢰자는 연구자들이 충분한 정보를 수집하여 본 시험을 계속할 필요가 없다고 결정했으므로 시험을 조기에 중단했습니다.
- 시험을 중단한 시점에, 29명의 환자(18%)는 시험을 완료했고, 다른 31명의 환자(19%)는 시험약 투여는 모두 받았으나 8주 환자 추적관찰을 완료하지 못했습니다.
- 나머지 환자들은 그들이 도달한 시점에서 시험을 중단하고 8주간 추적관찰을 받았습니다.

4. 시험의 결과는 어떠했습니까?

질문 1: 페네브루티닙은 루푸스 환자들에게 투여했을 때 장기간에 걸쳐 안전한가?

본 시험에서 시험약이 야기한 것으로 생각되는 부작용이 발생한 환자는 42명(26%)이었습니다. 중대한 부작용이 발생한 환자는 4명(3%)이었지만, 이 중 시험약이 야기한 것으로 생각되는 부작용은 없었습니다.

전체적으로, 본 시험에서 1일 2회 페네브루티닙 200 mg 투여는 안전했고 루푸스 환자들이 견딜 수 있었습니다.

질문 2: 페네브루티닙은 루푸스 환자들에게 효과가 있는가?

이전 시험에서, 연구자들은 해당 시험의 조건에서 루푸스 환자들에게 페네브루티닙이 충분한 개선을 보이지 않음을 알게 되었습니다.

이전 시험의 정보에서 페네브루티닙이 루푸스 환자들에게 효과가 없는 것으로 나타났기 때문에, 본 시험에서 연구자들은 페네브루티닙이 효과가 있었는지 여부를 분석하지 않았습니다.

본 항에서는 이 시험의 주요 결과만을 제시합니다. 본 요약서 마지막 부분(8항 참조)에 나와 있는 웹사이트에서 그 밖의 모든 결과에 대한 정보를 확인할 수 있습니다.

5. 부작용은 어떤 것이었습니까?

부작용은 시험 기간 동안 발생하는 의학적 문제(어지러운 느낌 등)입니다.

- 본 요약서에는 임상시험 의사가 본 시험에서의 투여와 관련된 것으로 생각하는 부작용이 기술되어 있습니다.
- 이 시험의 모든 환자가 모든 부작용을 경험한 것은 아닙니다.
- 부작용은 경증부터 매우 중대한 것일 수 있으며, 사람마다 다를 수 있습니다.
- 본 요약서에 보고된 부작용은 이 하나의 시험에서 도출된 것임을 유의하는 것이 중요합니다. 따라서, 본 요약서에 제시된 부작용은 다른 시험에서 관찰된 부작용이나 약물 설명서에 표시된 부작용과 다를 수 있습니다.
- 부작용은 경증부터 매우 중대한 것까지 다양할 수 있으며, 사람마다 다를 수 있습니다.
- 중대하고 흔한 부작용은 다음 항에 나와 있습니다.

중대한 부작용

생명을 위협하거나, 입원 치료를 필요로 하거나, 지속적인 문제를 야기하는 부작용은 “중대한” 것으로 간주됩니다.

본 시험 기간 동안, 160명의 환자 중 4명(3%)이 최소 1가지의 중대한 부작용을 경험했습니다. 그러나, 이러한 중대한 부작용 중 페네브루티닙이 야기한 것으로 생각되는 부작용은 없었습니다.

본 시험에서 사망은 없었습니다.

가장 흔한 부작용

본 시험 기간 동안, 160명의 환자 중 약 42명(26%)이 중대한 것으로 간주되지 않으나 페네브루티닙이 야기한 것으로 생각되는 부작용을 경험했습니다.

가장 흔한 부작용은 다음 표에 제시되어 있습니다. 일부 사람들은 1가지가 넘는 부작용을 경험했습니다. 즉, 이러한 사람들은 표에서 1개가 넘는 행에 포함되어 있습니다.

시험약이 야기한 부작용	부작용을 경험한 환자의 수
간 혈액 검사 결과 이상(알라닌 아미노전이효소 증가)	5명
토할 것 같은 느낌(메스꺼움)	5명
간 혈액 검사 결과 이상(아스파테이트 아미노전이효소 증가)	4명
비뇨기계 감염(요로 감염)	3명
알레르기 반응(과민증)	2명
설사	2명
간 혈액 검사 결과 이상(간효소 증가)	2명
위 부위 통증(복통)	2명
비뇨기계에 감염 없이 세균 존재(무증상성 세균뇨)	2명
질의 진균 감염(외음질 칸디다증)	2명

본 시험 기간 동안, 어떤 사람들은 다음과 같이 부작용으로 인해 투여를 변경했습니다.

- 11명의 환자(7%)가 페네브루티닙 관련 부작용으로 인해 시험 참여를 중단했습니다.
- 13명의 환자(8%)가 페네브루티닙 관련 부작용으로 인해 용량을 변경하거나 일시적으로 약물 투여를 중단했습니다.

기타 부작용

이 요약서의 마지막 부분에 열거되어 있는 웹사이트들에서 다른 부작용(상기 항에 나와 있지 않음)에 관한 정보를 찾아볼 수 있습니다(8항 참조).

6. 본 시험이 연구에 어떤 도움이 되었습니까?

본 요약서에 제시된 정보는 160명의 환자에 대한 하나의 시험에서 도출된 것입니다. 이러한 결과는 연구자들이 루푸스와 페네브루티닙에 대해 보다 자세히 파악하는 데 도움이 되었습니다.

연구자들은 1일 2회 투여한 페네브루티닙 200 mg이 이 시험의 환자 대부분에게 안전하고 내약성이 있었음을 발견했습니다.

이전 시험에서 페네브루티닙에 대한 반응으로 환자들이 개선을 보이지 않았으므로, 연구자들은 이와 같은 개선 여부를 분석하지 않았습니다.

하나의 시험으로 약물의 위험과 이익에 대한 모든 정보를 알 수는 없습니다. 저희가 알아야 할 모든 사항을 확인하려면 여러 시험에서 많은 사람들의 참여가 필요합니다. 본 시험에서 얻은 결과는 동일한 약물을 사용하는 다른 시험의 결과와 다를 수 있습니다.

- 이는 본 요약서 하나에 근거하여 결정을 내려서는 안 된다는 것을 의미합니다.
- 귀하의 치료에 대해 일체의 결정을 내리기 전에 항상 담당 의사와 상의하십시오.

7. 다른 시험 계획이 있습니까?

페네브루티닙은 다른 적응증들에서 시험 중이며, 다음에서 시험들에 관해 확인할 수 있습니다.

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=fenebrutinib&cntry=&state=&city=&dist=>

페네브루티닙은 “GDC-0853”이라고도 하며, 다음에서 시험들에 관해 확인할 수 있습니다.

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=GDC-0853&cntry=&state=&city=&dist=>

8. 어디에서 더 많은 정보를 확인할 수 있습니까?

본 시험에 대한 더 많은 정보는 아래에 열거한 웹사이트에서 확인할 수 있습니다.

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03407482>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2017-001764-37>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/an-extension-study-of-gdc-0853-in-participants-with-moderate-to-.html>

본 시험에 관한 질문이 있을 경우 누구에게 연락할 수 있습니까?

본 요약서를 읽은 후 추가 질문이 있다면:

- ForPatients 플랫폼을 방문하여 문의 양식을 작성하십시오(<https://forpatients.roche.com/en/About.html>).
- 현지 Roche 사무실에 있는 담당자에게 연락하십시오.

본 시험에 참여했고 그 결과에 대한 질문이 있다면:

- 시험 병원이나 진료소의 임상시험 의사 또는 직원과 상담하십시오.

귀하 본인의 치료에 대한 질문이 있는 경우:

- 귀하의 치료를 담당하는 의사와 상담하십시오.

본 시험은 누가 조직하였으며 비용은 누가 지급했습니까?

본 시험은 미국 캘리포니아주 South San Francisco에 소재한 Genentech, Inc.에서 조직하고 비용을 지급했습니다. Genentech는 스위스 바젤에 본사를 둔 F. Hoffmann-La Roche Ltd.의 일부입니다.

시험의 전체 제목 및 기타 식별 정보

본 시험의 전체 제목은 다음과 같습니다.

중등도 내지 중증의 활동성 전신홍반루푸스 환자들에서 GDC-0853의 장기적 안전성과 유효성을 평가하기 위해 이전에 임상시험 GA30044에 등록된 환자들을 대상으로 하는 제2상, 공개 연장 임상시험

- 본 시험의 임상시험 계획서 번호는 **GA30066**입니다.
- 본 시험의 ClinicalTrials.gov 식별번호는 **NCT03407482**입니다.
- 본 시험의 EudraCT 번호는 **2017-001764-37**입니다.