

Samenvatting van de resultaten van een klinisch onderzoek

Een onderzoek om meer te weten te komen over de werkzaamheid en veiligheid van selexipag bij deelnemers met sarcoïdose-geassocieerde pulmonale hypertensie

Hartelijk dank!

De opdrachtgever wil iedereen bedanken die heeft deelgenomen aan dit klinisch onderzoek naar selexipag, een onderzoeksmiddel voor sarcoïdose-geassocieerde pulmonale hypertensie (SAPH).

U heeft onze onderzoekers geholpen om meer te weten te komen over selexipag bij mensen met SAPH.

Deze samenvatting is geschreven voor de deelnemers aan dit onderzoek in niet-technische taal die duidelijk en gemakkelijk te begrijpen is. Het is belangrijk om te weten dat deze samenvatting alleen de resultaten van één onderzoek weergeeft en dat andere onderzoeken andere resultaten kunnen hebben. Onderzoekers en gezondheidsautoriteiten moeten de resultaten van een groot aantal onderzoeken bekijken om na te gaan of een onderzoeksmiddel veilig en werkzaam is voor het beoogde gebruik ervan.

Het product in dit onderzoek is mogelijk niet goedgekeurd waar u woont of voor het gebruik dat wordt onderzocht. Artsen dienen, indien van toepassing, de volledige productinformatie te raadplegen voor een juist gebruik van dit product.

Het is van essentieel belang dat u geen beslissing neemt over uw gezondheidszorg op basis van de resultaten van dit onderzoek. Praat altijd met een arts voordat u beslissingen neemt over gezondheidszorg, of als u vragen heeft over de resultaten van dit onderzoek. Niets in deze samenvatting mag worden gezien als productinformatie of medisch advies, en er mogen geen conclusies worden getrokken over producten of zorgopties op basis van deze samenvatting.

In deze samenvatting verwijst 'opdrachtgever' naar het bedrijf dat de verantwoordelijkheid voor dit onderzoek op zich neemt. 'Onderzoekers' verwijst naar de opdrachtgever, en naar de artsen en het personeel in de onderzoekscentra.

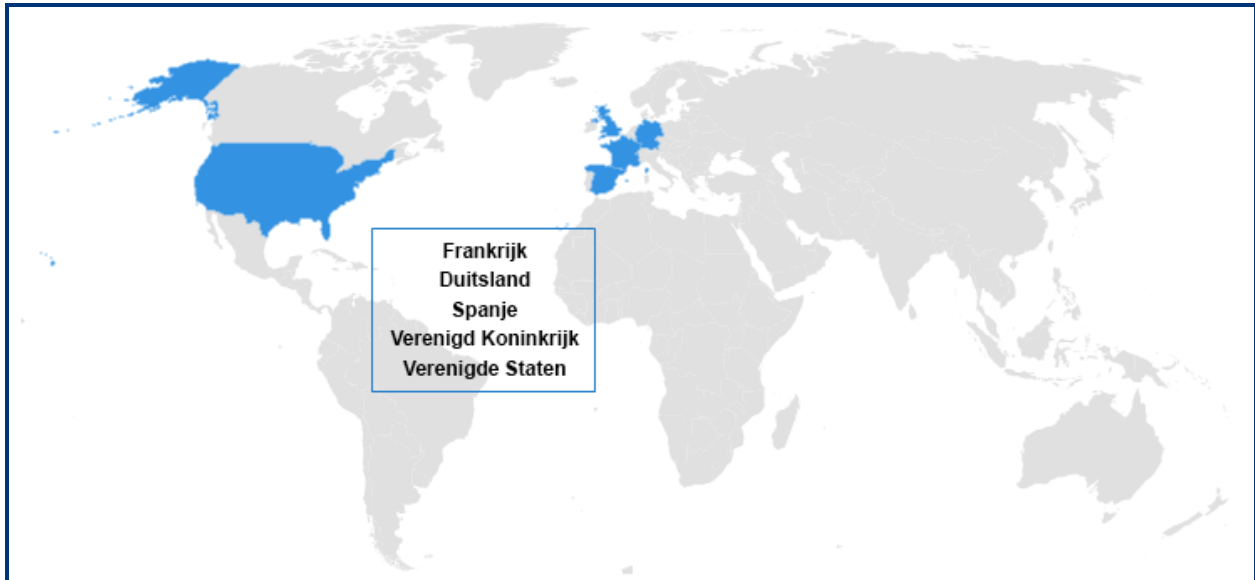
Inhoud van deze samenvatting

Waar en wanneer werd dit onderzoek uitgevoerd?	4
Wat was het doel van dit onderzoek?	5
Wie nam deel aan dit onderzoek?	6
Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?	6
Wat waren de belangrijkste resultaten van dit onderzoek?	8
Welke mogelijke bijwerkingen werden waargenomen tijdens dit onderzoek?	8
In welke mate was dit onderzoek nuttig?	10
Waar kan ik meer informatie over dit onderzoek vinden?	10

Waar en wanneer werd dit onderzoek uitgevoerd?

Aan dit onderzoek namen tien deelnemers uit vijf landen/gebieden deel, zoals weergegeven op onderstaande kaart. In sommige andere landen, zoals Nederland, België, Brazilië, Canada en Italië, heeft geen enkele onderzoekslocatie deelnemers ingeschreven.

Landen/gebieden waar de deelnemers hebben deelgenomen aan dit onderzoek



Het onderzoek begon in februari 2021 en eindigde eerder dan gepland in april 2023, dus het volledige onderzoek duurde ongeveer 2 jaar en 2 maanden.

De deelnemers kregen gemiddeld 8 maanden lang de onderzoeksbehandeling.

De opdrachtgever stopte het onderzoek vroegtijdig omdat, ondanks alle inspanningen, het aantal onderzoeksdeelnemers lager was dan verwacht en nodig was. De beslissing om het onderzoek te stoppen, was niet om veiligheidsredenen. Dit is een samenvatting van het onderzoek en de vragen die de onderzoekers wilden beantwoorden. De onderzoekers hadden berekend dat ze resultaten nodig hadden van 74 deelnemers om de onderzoeksvragen te beantwoorden. Met resultaten van slechts tien deelnemers hadden de onderzoekers niet genoeg informatie om de resultaten voldoende te begrijpen. Daarom zijn er geen resultaten voor werkzaamheid in deze samenvatting beschreven.

Wat was het doel van dit onderzoek?

Sarcoïdose-geassocieerde pulmonale hypertensie (SAPH)

Sarcoïdose-geassocieerde pulmonale hypertensie (hoge bloeddruk in de longbloedvaten) (SAPH) is een zeldzame maar ernstige complicatie van sarcoïdose. Sarcoïdose is een ziekte die ontstaat wanneer groepen cellen die betrokken zijn bij ontstekingen, knobbels vormen in verschillende organen van het lichaam. Deze knobbels worden granulomen genoemd. Sarcoïdose kan elk orgaan aantasten, maar treft het vaakst de longen, en SAPH kan leiden tot verstopping van de bloedvaten in de longen. Dit veroorzaakt kortademigheid tijdens lichamelijke activiteit.

Bij mensen met SAPH moet het hart harder pompen om de weerstand van de verstopte bloedvaten te overwinnen, zodat het bloed door de longen kan stromen. Door de weerstand in de longbloedvaten te meten, weten onderzoekers hoe hard het hart moet pompen om bloed in de longen te krijgen. Hoe lager de weerstand in de longbloedvaten is, hoe makkelijker het voor het hart is om het bloed door de longen te pompen.

Er zijn geen goedgekeurde geneesmiddelen voor de behandeling van SAPH, maar er zijn geneesmiddelen voor de behandeling van een andere aandoening van de longbloedvaten, namelijk pulmonale arteriële hypertensie (hoge bloeddruk in de longslagaders). Onderzoekers willen onderzoeken of geneesmiddelen die worden gebruikt voor de behandeling van pulmonale arteriële hypertensie (hoge bloeddruk in de longslagaders), de weerstand in de longbloedvaten kunnen verbeteren.

Onderzochte behandelingen

In dit onderzoek was **selexipag** een onderzoeksmiddel dat werd getest op de effecten ervan op SAPH. Onderzoeksmiddelen worden onderzocht om na te gaan of ze gebruikt kunnen worden als geneesmiddel. Selexipag werd via de mond ingenomen als tabletten.

Een **placebo** ziet er hetzelfde uit als het onderzoeksmiddel en wordt op dezelfde manier toegediend, maar bevat geen geneesmiddel. Door een placebo te gebruiken, konden de onderzoekers beter begrijpen of de effecten die ze zagen bij de deelnemers die selexipag kregen, werden veroorzaakt door het onderzoeksmiddel en niet door andere factoren.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek wilden de onderzoekers meer te weten komen over de werkzaamheid en veiligheid van selexipag bij deelnemers met SAPH. Binnen één enkel onderzoek willen onderzoekers normaal gesproken verschillende vragen beantwoorden.

In dit onderzoek was de hoofdvraag:

Wat was de verandering in weerstand in de longbloedvaten na 26 weken behandeling bij deelnemers die selexipag gebruikten vergeleken met placebo?

Daarnaast wilden de onderzoekers informatie verzamelen die zou kunnen helpen om de veiligheid van selexipag bij mensen met SAPH beter te begrijpen.

Wie nam deel aan dit onderzoek?

De onderzoekers nodigden patiënten met SAPH uit om deel te nemen aan het klinisch onderzoek.

Alle deelnemers waren:

- tussen de 18 en 75 jaar;
- gediagnosticeerd met hoge weerstand in de longbloedvaten als gevolg van sarcoïdose.

In totaal was 60% (6 van de 10) van de deelnemers man en 40% (4 van de 10) van de deelnemers vrouw. De gemiddelde leeftijd van de deelnemers was 60 jaar.

Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?

Dit was een fase 2-onderzoek. In fase 2-onderzoeken wordt het onderzoeksmiddel gegeven aan een klein aantal deelnemers met de aandoening om informatie te verzamelen over de effecten ervan.

Dit onderzoek vergeleek selexipag met placebo.

Het onderzoek was 'dubbelblind'. Dit betekent dat zowel de deelnemers als de onderzoekers niet wisten wie welke behandeling kreeg. Het doel hiervan was om zeker te weten dat de resultaten van het onderzoek niet door deze kennis werden beïnvloed.

De onderzoekers gebruikten een computerprogramma om deelnemers op een willekeurige manier in twee verschillende behandelingsgroepen in te delen. Dit betekent dat iedere persoon een gelijke kans had om in een van de twee behandelingsgroepen te worden ingedeeld.

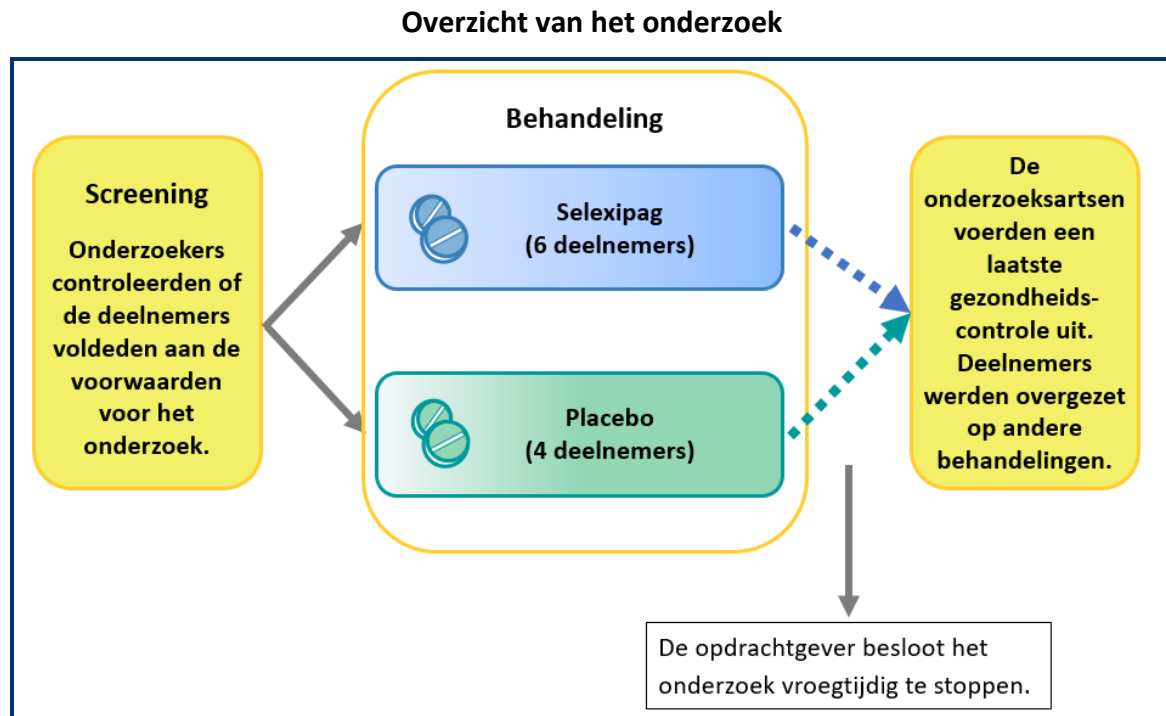
Dit onderzoek werd als volgt uitgevoerd.

Screening (maximaal 1 maand): De onderzoekers controleerden of de deelnemers voldeden aan de voorwaarden voor deelname aan dit onderzoek, op basis van hun medische voorgeschiedenis en huidige gezondheid.

Behandeling (tot 9 maanden): Deelnemers namen hun toegewezen tabletten één of twee keer per dag in, zoals besloten door de onderzoeksarts. Zonder te weten of de deelnemer selexipag of placebo kreeg, kon de onderzoeksarts gedurende 3 maanden het aantal tabletten geleidelijk aan verhogen. Het doel was om de hoogst aanvaardbare dosis te bereiken. Na 3 maanden bleven de deelnemers het aantal tabletten innemen dat door de onderzoeksarts werd aanbevolen. Indien nodig kon dit worden verhoogd of verlaagd.

De opdrachtgever besloot het onderzoek vroegtijdig te stoppen. De onderzoeksartsen voerden een laatste gezondheidscontrole uit nadat de deelnemers hun laatste dosis van het onderzoeksmiddel hadden gekregen. De artsen van de deelnemers begeleidden de overstap van het onderzoeksmiddel naar andere behandelingen.

Onderstaande afbeelding toont het overzicht van het onderzoek.



De gezondheid van de deelnemers werd gedurende het hele onderzoek gecontroleerd.

De onderzoekers voerden bloedtests en rechter hartkatheterisatie (RHC) uit voor alle deelnemers tijdens het onderzoek. De RHC is een test die wordt uitgevoerd om de bloedstroom en -druk in het hart en de longen te meten om de weerstand in de longbloedvaten te berekenen. Deze meet ook hoeveel zuurstof er in het bloed zit.

Daarnaast werden de deelnemers gevraagd om vragenlijsten in te vullen over hun symptomen en over dagelijkse activiteiten en welzijn. Informatie over verdere tests die de onderzoekers hebben uitgevoerd, staat op de websites die aan het einde van deze samenvatting worden genoemd.

Wat waren de belangrijkste resultaten van dit onderzoek?

De onderzoekers hadden berekend dat ze resultaten nodig hadden van 74 deelnemers om de onderzoeksvragen te beantwoorden. Met resultaten van slechts tien deelnemers hadden de onderzoekers niet genoeg informatie om de resultaten voldoende te begrijpen. Daarom is de analyse van de werkzaamheid niet uitgevoerd en worden er geen resultaten voor werkzaamheid beschreven in deze samenvatting.

Welke mogelijke bijwerkingen werden waargenomen tijdens dit onderzoek?

Ongewenste voorvallen zijn medische problemen die zich kunnen voordoen bij deelnemers tijdens een onderzoek. De onderzoeksartsen leggen al deze ongewenste voorvallen vast, ongeacht of ze verband houden met de onderzoeksbehandelingen of niet. De websites die aan het eind van deze samenvatting staan vermeld, zullen meer informatie bevatten over de ongewenste voorvallen die zich in dit onderzoek hebben voorgedaan.

Deze samenvatting geeft alleen de resultaten weer van één onderzoek. Onderzoekers moeten de resultaten van veel onderzoeken in overweging nemen om beter te begrijpen of ongewenste voorvallen verband kunnen houden met het onderzoeksmiddel.



In deze samenvatting wordt de term **mogelijke bijwerkingen** gebruikt voor ongewenste voorvallen die tijdens het onderzoek optraden en waarvan de onderzoeksarts dacht dat deze mogelijk verband hielden met de onderzoeksbehandeling.

Op het moment dat de onderzoeksarts de beoordeling maakte, wist hij/zij niet of de deelnemer selexipag of placebo kreeg.

Dit deel is een samenvatting van de mogelijke bijwerkingen voor dit onderzoek. Verschillende mogelijke bijwerkingen kunnen in andere documenten worden beschreven, nadat de opdrachtgever de resultaten van meer dan één onderzoek heeft verzameld.

Bij geen enkele deelnemer werd een ernstige mogelijke bijwerking gemeld (die bijvoorbeeld invaliditeit veroorzaken, verzorging in het ziekenhuis vereisen, levensbedreigend zijn of overlijden veroorzaken).

In de **selexipag**-groep overleed één deelnemer aan longontsteking. De onderzoeksarts was van mening dat dit overlijden geen verband hield met het onderzoeksmiddel.

Wat waren de meest voorkomende niet-ernstige mogelijke bijwerkingen?

In dit onderzoek hadden alle deelnemers (6 van de 6) in de **selexipag-groep** en 25% (1 van de 4) van de deelnemers in de **placebogroep** minstens één mogelijke bijwerking. In onderstaande tabel staan de niet-ernstige mogelijke bijwerkingen die zich bij ten minste twee van de deelnemers in een groep hebben voorgedaan. Deelnemers konden meer dan één niet-ernstige mogelijke bijwerking hebben.

Percentage (aantal) deelnemers met niet-ernstige mogelijke bijwerkingen die optraden bij ten minste twee deelnemers in een groep

	Selexipag (van de 6 deelnemers)	Placebo (van de 4 deelnemers)
Diarree	67% (4)	25% (1)
Hoofdpijn	67% (4)	25% (1)
Pijn in de arm of het been	50% (3)	0
Kaakpijn	50% (3)	0
Gewrichtspijn	50% (3)	0
Migraine	33% (2)	0
Misselijkheid	33% (2)	0

Hoeveel deelnemers moesten stoppen met de behandeling vanwege mogelijke bijwerkingen?

Eén deelnemer stopte met het nemen van **selexipag** vanwege de mogelijke bijwerkingen zich erg moe voelen, zwaarte van de benen en gezwollen enkels.

In welke mate was dit onderzoek nuttig?

Dit onderzoek hielp onderzoekers om meer te weten te komen over de veiligheid van selexipag bij mensen met SAPH. De mogelijke werkzaamheid van selexipag kon echter niet worden geanalyseerd in dit onderzoek.

Op het moment dat deze samenvatting wordt afgerond, is de opdrachtgever niet van plan om in de toekomst nog andere onderzoeken uit te voeren met selexipag bij mensen met SAPH.

Onthoud dat deze samenvatting alleen de resultaten weergeeft van één onderzoek. Andere onderzoeken kunnen andere resultaten hebben. Onderzoekers moeten de resultaten van vele onderzoeken in overweging nemen om de werkzaamheid en veiligheid van om het even welk onderzoeksmiddel beter te begrijpen.

Praat altijd met een arts voordat u beslissingen neemt over gezondheidszorg of als u vragen heeft over deze onderzoeksresultaten.

Hartelijk dank aan iedereen die heeft deelgenomen aan dit klinisch onderzoek.

Waar kan ik meer informatie over dit onderzoek vinden?

Als u aan dit onderzoek heeft deelgenomen en u vragen heeft over de resultaten van dit onderzoek, neemt u contact op met de arts of het personeel van uw onderzoekscentrum.

U kunt meer informatie over dit onderzoek vinden op de volgende websites:

- www.clinicaltrials.gov Gebruik de onderzoeksreferentie NCT03942211 (VS NCT-nummer)
- www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search Gebruik de onderzoeksreferentie 2018-004887-74 (EudraCT-nummer)
- www.toetsingonline.nl/to/ccmo-search.nsf/Searchform?OpenForm Gebruik het dossiernummer NL69964.056.19

Houd er rekening mee dat informatie op websites mogelijk op een andere manier wordt weergegeven dan in deze samenvatting.

Volledige titel van het onderzoek: Een multicentrisch, gerandomiseerd, dubbelblind, placebogecontroleerd onderzoek bij deelnemers met sarcoidose-geassocieerde pulmonale hypertensie (SAPH) om de werkzaamheid en veiligheid van orale selexipag te beoordelen

Geneesmiddel dat wordt onderzocht: Selezipag (JNJ-67896049/ACT-293987)

Nummer van het onderzoek (protocolnummer): AC-065D301

Andere identificatiecodes: SPHINX

Datum van deze samenvatting: 19 maart 2024

Opdrachtgever:

Opdrachtgever	Landen/regio's
Janssen Cilag International NV	België, Frankrijk, Duitsland, Italië, Nederland, Spanje en het Verenigd Koninkrijk
Janssen Research & Development, LLC	Canada en de Verenigde Staten
Janssen-Cilag Farmaceutica Ltda	Brazilië

Contactinformatie van de opdrachtgever: PLS-Admin@its.jnj.com

Deze samenvatting van klinische onderzoeksresultaten in begrijpelijke taal is de enige versie die door de opdrachtgever is goedgekeurd.

Dit document is voor uw persoonlijke informatie. De opdrachtgever geeft geen enkel recht om informatie in deze samenvatting in begrijpelijke taal te gebruiken voor welke andere doeleinden dan ook, zoals het plaatsen of bespreken ervan op sociale media, in verband met onderzoeks- en/of ontwikkelingsprogramma's of voor het leveren van goederen of diensten. Dit document bevat niet voldoende informatie om aan een gezondheidsautoriteit te worden voorgelegd. U mag deze informatie voor geen enkel wettelijk doel gebruiken, met inbegrip van het verstrekken van informatie aan een regelgevende instantie waar ook ter wereld die een autorisatie van welke aard dan ook voor gezondheidsproducten vraagt.