

Samenvatting van de resultaten van een klinisch onderzoek

Een onderzoek om meer te weten te komen over het effect van selexipag op de hartfunctie bij mensen met pulmonale arteriële hypertensie

Hartelijk dank!

De opdrachtgever wil iedereen bedanken die heeft deelgenomen aan dit klinisch onderzoek met selexipag.

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

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?	3
Wat was het doel van dit onderzoek?	3
Wie nam deel aan dit onderzoek?	4
Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?	5
Wat waren de belangrijkste resultaten van dit onderzoek?	6
Welke mogelijke bijwerkingen werden waargenomen tijdens dit onderzoek?	6
In welke mate was dit onderzoek nuttig?	7
Waar kan ik meer informatie over dit onderzoek vinden?	8

Waar en wanneer werd dit onderzoek uitgevoerd?

Aan dit onderzoek namen negen deelnemers uit vijf landen/gebieden deel, zoals getoond in onderstaande tabel.

Landen/gebieden per regio	
Regio	Landen/gebieden
Azië	Maleisië, Singapore, Zuid-Korea
Europa	Nederland, Verenigd Koninkrijk

Dit onderzoek begon in juli 2021 en eindigde eerder dan gepland, in juli 2023, dus het volledige onderzoek duurde ongeveer 2 jaar. Een deelnemer kon maximaal 1 jaar en 2 maanden aan dit onderzoek deelnemen.

Het onderzoek werd vroegtijdig stopgezet omdat er minder deelnemers waren dan verwacht, ondanks pogingen om het geplande aantal te bereiken. Deze beslissing 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 80 deelnemers om de onderzoeksvragen te beantwoorden. Met resultaten van slechts negen 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?

Pulmonale arteriële hypertensie

Pulmonale arteriële hypertensie (PAH) is een ziekte van de bloedvaten in de longen. Longslagaders zijn de bloedvaten die bloed van de rechterkant van het hart naar de longen voeren om zuurstof op te nemen. Bij PAH wordt de bloeddruk in de longslagaders hoger dan normaal. De longslagaders vertakken zich in steeds kleinere vaten in de longen. De ziekte ontstaat wanneer deze kleine bloedvaten die de longen van bloed voorzien, zich beginnen te vernauwen. Na verloop van tijd worden de bloedvaten stijver en dikker, en sommige kunnen volledig verstopt raken. Door deze minder soepele bloedvaten kan het bloed moeilijker bij de longen komen, en moet het hart harder pompen. De extra belasting van het harder pompen zorgt ervoor dat het hart na verloop van tijd groter wordt en slechter gaat werken. Met andere woorden: de hartfunctie verslechtert.

Naarmate deze ziekte voortschrijdt, neemt de functie van het hart af en kan er steeds minder bloed vanuit het hart via de longen naar het lichaam stromen, en beginnen er meer symptomen op te treden. Veel voorkomende symptomen van PAH zijn vermoeidheid, pijn op de borst, duizeligheid, onregelmatige hartslag en kortademigheid, met name tijdens lichamelijke activiteit. Er is geen genezing voor PAH, hoewel sommige geneesmiddelen de verergering van de ziekte kunnen vertragen.

Onderzochte behandeling

In dit onderzoek was **selexipag** een onderzoeksmiddel dat werd getest op de effecten ervan op de werking van de rechterkant van het hart bij mensen met PAH. Onderzoeksmiddelen worden onderzocht om na te gaan of ze gebruikt kunnen worden om een ziekte te behandelen. Selexipag werd als tablet via de mond ingenomen.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek gebruikten de onderzoekers een soort scan die magnetische resonantiebeeldvorming (MRI) wordt genoemd om gedetailleerde beelden van het hart te maken bij mensen met PAH die selexipag gebruikten. De MRI-scans toonden de hoeveelheid bloed die bij elke hartslag wordt gepompt en de structuur van het hart.

Binnen één enkel onderzoek willen onderzoekers normaal gesproken verschillende vragen beantwoorden.

In dit onderzoek was de hoofdvraag:

Wat was het effect van 26 weken behandeling met selexipag op de functie van de rechterkant van het hart?

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

Omdat het onderzoek vroegtijdig werd stopgezet, konden de onderzoekers niet voldoende informatie verzamelen om de hoofdvraag van het onderzoek te beantwoorden. Informatie over verdere vragen die de onderzoekers hebben gesteld, staat op de websites die aan het einde van deze samenvatting worden genoemd.

Wie nam deel aan dit onderzoek?

De onderzoekers vroegen mensen van 18 tot 64 jaar bij wie in de afgelopen 3 jaar PAH was vastgesteld, om deel te nemen aan het klinisch onderzoek.

In totaal was 67% (6 van de 9) van de deelnemers vrouw en 33% (3 van de 9) van de deelnemers man. De gemiddelde leeftijd van de deelnemers was 42 jaar.

Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?

Dit was een fase 4-onderzoek. Dit betekent dat het onderzoek is opgezet om meer te weten te komen over de effecten en veiligheid van een product dat reeds op de markt is gebracht voor de behandeling van een specifieke ziekte.

Dit onderzoek werd in drie delen uitgevoerd.

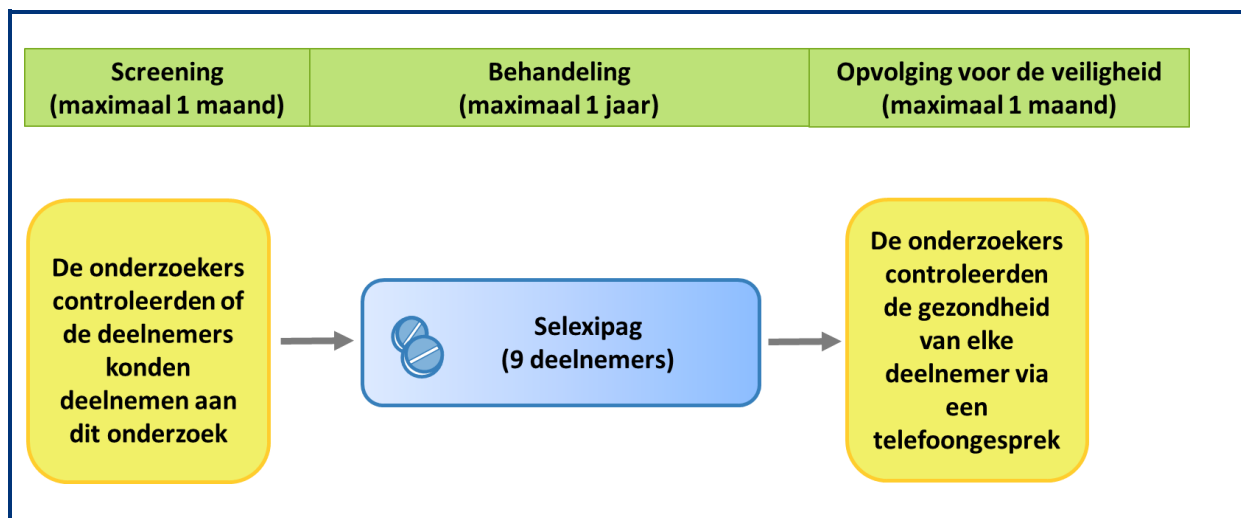
Screening (maximaal 1 maand): de onderzoekers controleerden of de deelnemers voldeden aan de voorwaarden voor deelname aan dit onderzoek, op basis van hun medische voorgeschiedenis en huidige gezondheid.

Behandeling (maximaal 1 jaar): alle deelnemers namen tweemaal daags selexipag-tabletten in ('s ochtends en 's avonds). De onderzoeksarts kon de dosis geleidelijk aan verhogen gedurende 3 maanden. Het doel was om de hoogste aanvaardbare dosis selexipag te bereiken. Na 3 maanden bleven de deelnemers dezelfde dosis innemen die door de onderzoeksarts was aanbevolen tot het einde van de behandelingsperiode.

Opvolging voor de veiligheid (maximaal 1 maand): de onderzoekers controleerden de gezondheid van elke deelnemer nadat ze hun laatste dosis selexipag hadden gekregen.

De opzet van het onderzoek was als volgt:

Opzet van het onderzoek



De gezondheid van de deelnemers werd gedurende het hele onderzoek gecontroleerd. Onderzoekers voerden tijdens het onderzoek bij alle deelnemers bloedtesten en beeldvormingsscan's uit, waaronder MRI. De beeldvormingsscan's werden specifiek gebruikt om de werking van het hart en het vermogen om bloed te pompen te beoordelen.

De deelnemers werden gevraagd om te testen hoe ver ze binnen 6 minuten konden lopen, om na te gaan in welke mate ze inspanningen konden doen. 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 80 deelnemers om de onderzoeksvragen te beantwoorden. Met resultaten van slechts negen 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 het onderzoeksmiddel 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 selexipag**.

Dit deel is een samenvatting van deze mogelijke bijwerkingen. 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). Er overleden geen deelnemers tijdens het onderzoek. Geen enkele deelnemer stopte met het gebruik van selexipag tijdens het onderzoek vanwege een mogelijke bijwerking.

Wat waren de meest voorkomende mogelijke bijwerkingen?

In onderstaande tabel staan de meest voorkomende mogelijke bijwerkingen die zich bij ten minste twee van de deelnemers hebben voorgedaan. Een deelnemer kan meer dan één mogelijke bijwerking hebben gehad.

Percentage (aantal) deelnemers met meest voorkomende mogelijke bijwerkingen die zich bij ten minste twee deelnemers hebben voorgedaan

	Selexipag (van de 9 deelnemers)
Had ten minste één mogelijke bijwerking	100% (9)
Misselijkheid	78% (7)
Hoofdpijn	67% (6)
Diarree	44% (4)
Kaakpijn	44% (4)
Spierpijn	44% (4)
Overmatig blozen	22% (2)

In welke mate was dit onderzoek nuttig?

Dit onderzoek hielp onderzoekers om meer te weten te komen over de mogelijke effecten van selexipag op de werking van de rechterkant van het hart bij mensen met PAH. De effecten van selexipag konden echter niet worden geanalyseerd in dit onderzoek omdat er minder deelnemers waren dan verwacht, ondanks pogingen om het geplande aantal te bereiken.

Er lopen nog andere klinische onderzoeken met selexipag.

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 klinische 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 NCT04435782 (VS NCT-nummer)
- www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search Gebruik de onderzoeksreferentie 2019-004783-22 (EudraCT-nummer)
- www.toetsingonline.nl/to/ccmo-search.nsf/Searchform?OpenForm Gebruik het dossiernummer NL74159.056.20

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 prospectief, multicenter-, eenarmig, open-label-, fase-4-onderzoek naar de effecten van selexipag op de remodellering van het rechterventrikel bij pulmonale arteriële hypertensie, beoordeeld door middel van beeldvorming met magnetische resonantie (MRI) van het hart

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

Nummer van het onderzoek (protocolnummer): 67896049PAH4005

Andere identificatiecodes: CR108753

Datum van deze samenvatting: 31 mei 2024

Opdrachtgever:

Opdrachtgever	Landen/regio's
Actelion Pharmaceuticals Ltd.	Maleisië, Singapore, Verenigd Koninkrijk
Janssen Cilag International NV	Nederland
Janssen Korea Ltd.	Zuid-Korea

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.