

Samenvatting van de resultaten van een klinische studie

Een studie om meer te weten te komen over de gezondheidsuitkomsten van mensen aan wie geneesmiddelen voor pulmonale arteriële hypertensie zijn voorgeschreven

Hartelijk bedankt!

De opdrachtgever wil iedereen bedanken die heeft deelgenomen aan deze klinische studie naar routinematig voorgeschreven geneesmiddelen voor pulmonale arteriële hypertensie (PAH).

U heeft onze onderzoekers geholpen om meer te weten te komen over routinematig voorgeschreven geneesmiddelen voor mensen met PAH.

Deze samenvatting is geschreven voor de deelnemers aan deze studie, in niet-technische taal die duidelijk en gemakkelijk te begrijpen is. Het is belangrijk te weten dat deze samenvatting slechts de resultaten van één enkele studie beschrijft en dat andere studies andere resultaten kunnen hebben. Onderzoekers en gezondheidsautoriteiten nemen de resultaten van vele studies in overweging om te begrijpen of een geneesmiddel veilig en effectief is om een ziekte te behandelen.

Het/de product(en) in deze studie is/zijn mogelijk niet goedgekeurd waar u woont of voor het gebruik dat wordt onderzocht. Artsen dienen, indien van toepassing, de volledige voorschrijfinformatie te raadplegen voor een juist gebruik van dit/deze product(en).

Het is belangrijk dat u geen beslissing neemt over uw gezondheidszorg op basis van de resultaten van deze studie. Overleg altijd met een arts voordat u beslissingen neemt ten aanzien van uw gezondheid en als u vragen heeft over de resultaten van deze studie. Niets in deze samenvatting mag worden beschouwd als voorschrijfinformatie of medisch advies, en er mogen geen conclusies over producten of zorgopties worden getrokken op basis van deze samenvatting.

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

Inhoud van deze samenvatting

Wat was het doel van deze studie?	4
Waar en wanneer werd deze studie uitgevoerd?	5
Wie nam deel aan de studie?	6
Wat gebeurde er tijdens deze studie?	6
Wat waren de belangrijkste resultaten van deze studie?	8
Welke ongewenste bijwerkingen werden tijdens deze studie waargenomen?	8
In hoeverre was deze studie nuttig?	11
Waar kan ik meer informatie over deze studie vinden?	12

Wat was het doel van deze studie?

Pulmonale arteriële hypertensie

Pulmonale arteriële hypertensie (PAH) is een ziekte van de bloedvaten in de longen. Pulmonale arteriële hypertensie treedt op wanneer de bloeddruk in de longslagaders (de bloedvaten die bloed van de rechterkant van het hart naar de longen transporteren om zuurstof op te nemen) hoger wordt 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. 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. Pulmonale arteriële hypertensie verergert in de loop van de tijd en kan niet worden genezen, hoewel sommige geneesmiddelen de ziekteprogressie (verergering van PAH) kunnen vertragen.

Voorgeschreven PAH-geneesmiddelen

Aan deze studie namen mensen deel met PAH die ten minste één geneesmiddel voor PAH kregen voorgeschreven. De voorgeschreven PAH-geneesmiddelen omvatten ten minste één van de volgende: macitentan, ambrisentan, bosentan, tadalafil, sildenafil, riociguat, selexipag, epoprostenol, iloprost, treprostinil en beraprost.

In deze studie heeft de opdrachtgever de deelnemers geen geneesmiddelen verstrekt. Onderzoekers hebben de voorgeschreven PAH-geneesmiddelen van de deelnemers niet veranderd. Ze controleerden de algehele gezondheid van de deelnemers, de ernst van de PAH en noteerden eventuele wijzigingen die de voorschrijvende arts aan de PAH-geneesmiddelen had aangebracht. De voorschrijvende arts kan ook de arts-onderzoeker zijn die tijdens de studie bloedtesten en andere procedures heeft uitgevoerd.

Doel van de studie

In deze studie wilden onderzoekers informatie verzamelen over routinematig voorgeschreven PAH-geneesmiddelen.

Binnen één studie willen onderzoekers gewoonlijk verschillende vragen beantwoorden. In deze studie was de hoofdvraag:

Hoelang duurde het voordat de deelnemers voor de eerste keer in het ziekenhuis werden opgenomen of stierven als gevolg van PAH na aanvang van hun studiedeelname?

Daarnaast wilden de onderzoekers aanvullende informatie verzamelen die zou kunnen helpen om de veiligheid beter te begrijpen van PAH-geneesmiddelen die routinematig worden voorgeschreven aan mensen met PAH.

Waar en wanneer werd deze studie uitgevoerd?

Aan deze studie namen 207 deelnemers uit 10 landen/gebieden deel die met een nieuw PAH-geneesmiddel begonnen waren bij opname in de studie of die de behandeling met macitentan voortzetten. Onderstaande tabel toont de landen en het aantal deelnemers per regio.

Aantal deelnemers per regio		
Regio	Landen/gebieden	Aantal deelnemers
Azië	China, Singapore, Zuid-Korea	110
Europa	Italië, Nederland, Polen, Verenigd Koninkrijk, Zweden	53
Noord- en Zuid-Amerika	Argentinië, Verenigde Staten	44

De studie begon in oktober 2021 en eindigde in december 2022, dus de volledige studie duurde ongeveer 1 jaar en 2 maanden.

De gemiddelde duur van de PAH-behandeling van alle deelnemers tijdens hun deelname aan de studie was 4 maanden. De duur van de PAH-behandeling varieerde tussen 1 dag en 14 maanden.

De studie werd gepland voor een periode van ongeveer 6 jaar. De opdrachtgever stopte de studie voortijdig wegens redenen die geen verband houden met de veiligheid of de opzet van de studie. Nadat de studie voortijdig was stopgezet, heeft de opdrachtgever de beperkte gegevens die waren verzameld nagekeken en van de resultaten een rapport gemaakt. Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten in dat rapport.

Wie nam deel aan de studie?

Mannen en vrouwen met PAH die ten minste 18 jaar oud waren en aan een van de volgende voorwaarden voldeden, konden aan de studie deelnemen:

- personen die door hun voorschrijvende arts een nieuw PAH-geneesmiddel voorgeschreven hadden gekregen (alleen of als vervanging, of als aanvulling op andere PAH-geneesmiddelen) en aan wie werd gevraagd om bij aanvang van de studie met het nieuwe PAH-geneesmiddel te beginnen. De deelnemers mochten deze nieuwe geneesmiddelen niet hebben gebruikt in de periode van 3 maanden voorafgaand aan het startbezoek van de studie.
- personen die macitentan ten minste drie maanden vóór het startbezoek van de studie hadden gebruikt en bij wie behandeling met alle PAH-geneesmiddelen gedurende die periode onveranderd bleef, konden dezelfde geneesmiddelen blijven krijgen.

In totaal was 76% (157 van de 207) van de deelnemers vrouw en 24% (50 van de 207) van de deelnemers man. Alle deelnemers hadden een leeftijd tussen 20 en 79 jaar.

Wat gebeurde er tijdens deze studie?

Dit was een fase 4-studie. Dit betekent dat de studie werd opgezet om informatie te verzamelen over geneesmiddelen die in de normale klinische praktijk worden voorgeschreven. Onderzoekers controleerden welke PAH-geneesmiddelen aan de deelnemers werden voorgeschreven en wat de veranderingen in hun ziekte en gezondheid waren.

In deze studie heeft de opdrachtgever geen geneesmiddelen verstrekt. Deelnemers namen de PAH-geneesmiddelen in opdracht van de voorschrijvende arts. De arts-onderzoeker controleerde de gezondheid van de deelnemers door tests uit te voeren en informatie te verzamelen zoals hieronder aangegeven.

Startbezoek van de studie: De arts-onderzoeker controleerde elke deelnemer om er zeker van te zijn dat zij voldeden aan de voorwaarden om aan de studie deel te nemen. Na deelname aan de studie kregen de deelnemers (een) nieuw(e) PAH-geneesmiddel(en) voorgeschreven of konden ze macitentan blijven gebruiken.

Als de deelnemers bij het startbezoek van de studie met de behandeling met macitentan waren begonnen, werden ze na 1 maand telefonisch opgevolgd om informatie te verzamelen over hun gezondheid en eventuele bijwerkingen.

6-maandelijkse bezoeken: Deelnemers bezochten het ziekenhuis eens in de 6 maanden.

Tijdens de studiebezoeken nam de arts-onderzoeker bloed af bij de deelnemers voor tests en werd de ernst van hun ziekte beoordeeld. De arts-onderzoekers vroegen de deelnemers ook om een looptest van 6 minuten te doen (een test om te controleren hoe ver de deelnemer in 6 minuten kon lopen) en om vragenlijsten te beantwoorden. Via deze vragenlijsten wilden onderzoekers informatie verzamelen over de levenskwaliteit van de deelnemers, het algehele welzijn en de ervaring met hun PAH-geneesmiddelen, en inzicht krijgen of de deelnemers hun PAH-geneesmiddelen gebruikten zoals voorgeschreven.

3-maandelijkse telefonische opvolging: Tussen de 6-maandelijkse bezoeken door belden de onderzoekers de deelnemers op om informatie te verzamelen over hun gezondheid en eventuele bijwerkingen die ze hadden ondervonden. Ze controleerden ook of de deelnemers de PAH-geneesmiddelen namen zoals voorgeschreven.

Naast de vereiste studiebezoeken kon de arts-onderzoeker de deelnemers indien nodig op elk gewenst moment vragen het ziekenhuis te bezoeken voor gezondheidscontroles of tests.

Bezoek voor wijziging van behandeling: Als de voorschrijvende arts een wijziging in het PAH-geneesmiddel aanbracht, moest de deelnemer het ziekenhuis bezoeken binnen één maand vóór of op de dag van de wijziging in het PAH-geneesmiddel.

Deelnemers die macitentan kregen als wijziging in hun behandeling, werden 1 maand na het starten van de behandeling met macitentan telefonisch opgevolgd.

Onderstaande afbeelding toont het overzicht van de studie.

Overzicht van de studie



Wat waren de belangrijkste resultaten van deze studie?

Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten van deze studie voor de volledige groep deelnemers. Deze samenvatting toont geen afzonderlijke resultaten voor individuele deelnemers. De resultaten van een individu kunnen verschillen van die van de volledige groep deelnemers.

Hoelang duurde het voordat de deelnemers voor de eerste keer in het ziekenhuis werden opgenomen of stierven als gevolg van PAH na aanvang van hun studiedeelname?

Tijdens deze studie werden 14 deelnemers voor het eerst in het ziekenhuis opgenomen vanwege PAH. Eén deelnemer overleed als gevolg van PAH, maar werd eerder niet in het ziekenhuis opgenomen als gevolg van PAH. Aangezien de studie voortijdig werd beëindigd, konden de onderzoekers de tijd tot de eerste ziekenhuisopname of overlijden als gevolg van PAH niet berekenen.

Informatie over verdere vragen die de onderzoekers hebben gesteld, staat op de websites die aan het eind van deze samenvatting zijn vermeld.

Welke ongewenste bijwerkingen werden tijdens deze studie waargenomen?

Ongewenste bijwerkingen zijn medische problemen die zich kunnen voordoen bij deelnemers tijdens een studie. Arts-onderzoekers leggen al deze ongewenste bijwerkingen vast, ongeacht of ze al dan niet aan de studiebehandeling zijn gerelateerd. De websites die aan het eind van deze samenvatting staan vermeld, bevatten meer informatie over de ongewenste bijwerkingen die zich in deze studie hebben voorgedaan.

Deze samenvatting geeft alleen de resultaten weer van één studie. Onderzoekers moeten de resultaten van veel studies in overweging nemen om beter te begrijpen of ongewenste bijwerkingen verband kunnen houden met PAH-geneesmiddelen.



In deze samenvatting wordt de term **mogelijke bijwerkingen** gebruikt voor ongewenste bijwerkingen die tijdens de studie optraden en waarvan de **arts-onderzoeker dacht dat deze mogelijk verband hielden met één of meer PAH-geneesmiddelen die door voorschrijvende artsen aan de deelnemers werden voorgeschreven**.

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 studie heeft verzameld.

Hoeveel deelnemers hadden last van ernstige mogelijke bijwerkingen?

Ernstige mogelijke bijwerkingen zijn reacties die levensbedreigend zijn of overlijden kunnen veroorzaken, blijvende problemen veroorzaken of verzorging in het ziekenhuis vereisen.

In deze studie had 1% (2 van de 207) van de deelnemers ten minste één ernstige mogelijke bijwerking. De gemelde ernstige mogelijke bijwerkingen waren:

- plotseling niet kunnen ademen,
- gevoeligheid voor geneesmiddelen of het niet kunnen verdragen van de bijwerkingen van geneesmiddelen,
- niet kunnen ademen, en
- rechtszijdig hartfalen.

In totaal overleed 5% (11 van de 207) van de deelnemers in deze studie. Eén deelnemer overleed aan de ernstige mogelijke bijwerking van 'niet kunnen ademen'. Deze ernstige mogelijke bijwerking werd door de arts-onderzoeker beschouwd als gerelateerd aan epoprostenol.

Wat waren de meest voorkomende niet-ernstige mogelijke bijwerkingen?

In deze studie had 5% (10 van de 207) van de deelnemers ten minste één niet-ernstige mogelijke bijwerking.

In onderstaande tabel staan de niet-ernstige mogelijke bijwerkingen die mogelijk verband houden met één of meer van de PAH-geneesmiddelen die door hun voorschrijvende arts aan de deelnemers zijn voorgeschreven.

Percentage (aantal) deelnemers met niet-ernstige mogelijke bijwerkingen

	Algemeen (van de 207 deelnemers)
Hoofdpijn	2% (4)
Pijn in armen of benen	1% (2)
Diarree	1% (2)
Lage bloeddruk	1% (2)
Zwelling veroorzaakt door vochtophoping in het lichaam	1% (2)
Duizeligheid	Minder dan 1% (1)
Zwak gevoel	Minder dan 1% (1)
Griepachtige klachten	Minder dan 1% (1)
Slechte spijsvertering	Minder dan 1% (1)
Spierpijn	Minder dan 1% (1)
Verstopte neus	Minder dan 1% (1)
Misselijkheid	Minder dan 1% (1)
Pijn in de kaak	Minder dan 1% (1)
Maagpijn	Minder dan 1% (1)

Hoeveel deelnemers moesten met het gebruik van hun PAH-geneesmiddel stoppen vanwege mogelijke bijwerkingen?

In totaal stopte 2% (5 van de 207) van de deelnemers met hun PAH-geneesmiddelen vanwege een mogelijke bijwerking. Een deelnemer kan meer dan één mogelijke bijwerking hebben. De mogelijke bijwerkingen die ertoe leidden dat de deelnemers stopten met hun PAH-geneesmiddelen waren:

- pijn in armen of benen,
- plotseling niet kunnen ademen,
- niet kunnen ademen,
- slechte spijsvertering,
- lage bloeddruk,
- rechtszijdig hartfalen, en
- gevoeligheid voor geneesmiddelen of het niet kunnen verdragen van de bijwerkingen van geneesmiddelen.

In hoeverre was deze studie nuttig?

Deze studie heeft onderzoekers geholpen om meer te weten te komen over routinematig voorgeschreven PAH-geneesmiddelen. Deze studie werd voortijdig stopgezet om redenen die geen verband hielden met de veiligheid of de opzet van de studie.

Aanvullende klinische studies met PAH-geneesmiddelen zijn lopende.

Onthoud dat deze samenvatting alleen de resultaten weergeeft van één studie. Andere studies kunnen andere bevindingen hebben. Onderzoekers moeten de resultaten van vele studies in overweging nemen om de werkzaamheid en veiligheid van elk van de PAH-geneesmiddelen beter te begrijpen.

Praat altijd met een arts voordat u beslissingen maakt over uw gezondheidszorg of als u vragen heeft over de resultaten van deze studie.

Hartelijk dank aan iedereen die heeft deelgenomen aan deze klinische studie.

Waar kan ik meer informatie over deze studie vinden?

Als u aan deze studie heeft deelgenomen en u vragen heeft over de resultaten van deze studie, neem dan contact op met de arts of het personeel van uw studiecentrum.

U kunt meer informatie over deze studie vinden op de volgende websites:

- www.clinicaltrials.gov Gebruik de studiereferentie NCT04955990 (VS NCT-nummer)
- www.toetsingonline.nl/to/ccmo_search.nsf/Searchform?OpenForm Gebruik het dossiernummer NL77818.028.21

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

Volledige titel van de studie: Een internationaal, niet-medicinaal interventioneel, real-world cohort van PAH-patiënten die pas zijn begonnen met PAH-behandeling met op richtlijnen gerichte beoordelingen van de ernst van de ziekte

Gecontroleerde PAH-geneesmiddelen: Macitentan, ambrisentan, bosentan, tadalafil, sildenafil, riociguat, selexipag, epoprostenol, iloprost, treprostinil en beraprost

Nummer van de studie (protocolnummer): 67896062PAH4005

Andere identificatiecodes: CR109007

Datum van deze samenvatting: 21 november 2023

Opdrachtgever:

Bedrijf opdrachtgever	Landen/gebieden
Actelion Pharmaceuticals Ltd	Argentinië, China, Singapore, Verenigde Staten
Janssen-Cilag International NV	Italië, Polen, Nederland, Verenigd Koninkrijk, Zweden
Janssen Korea Ltd.	Zuid-Korea

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

Dit document is voor uw persoonlijke informatie. De opdrachtgever geeft geen enkel recht om informatie in deze samenvatting in begrijpelijke taal te gebruiken voor 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 onvoldoende informatie om aan een gezondheidsautoriteit te worden voorgelegd. U mag deze informatie voor geen enkel regelgevend doel gebruiken, met inbegrip van het voorleggen van informatie aan een regelgevende instantie waar ook ter wereld die een autorisatie van welke aard dan ook voor gezondheidsproducten vraagt.