

Samenvatting van de resultaten van een klinisch onderzoek

Een onderzoek naar de werkzaamheid en veiligheid van ustekinumab bij kinderen met matige tot ernstige plaque psoriasis

Hartelijk dank!

De sponsor (Janssen-Cilag International NV, onderdeel van de Janssen Pharmaceutical Companies van Johnson & Johnson) wil graag de kinderen en gezinnen bedanken die hebben deelgenomen aan dit klinische onderzoek naar ustekinumab.

U hebt onze onderzoekers geholpen meer te begrijpen over de mogelijke werkzaamheid en veiligheid van ustekinumab bij kinderen met matige tot ernstige plaque psoriasis.

Deze samenvatting is geschreven voor de deelnemers aan dit onderzoek of hun ouders en verzorgers, 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 enkel onderzoek weergeeft en dat andere onderzoeken andere resultaten kunnen hebben. De reden hiervoor is dat onderzoekers en gezondheidsautoriteiten de resultaten van vele onderzoeken moeten bekijken om te begrijpen of een onderzoeksbehandeling een gezondheidsvoordeel oplevert en om de veiligheid van de onderzoeksbehandeling voor het beoogde gebruik ervan te begrijpen.

Het is van essentieel belang dat u geen enkele beslissing over de behandeling van uw kind neemt op basis van de resultaten van deze studie. Praat altijd met een arts voordat u behandelingen die uw kind ondergaat, wijzigt of stopzet, of als u vragen hebt over deze onderzoeksresultaten. Niets in deze samenvatting mag worden beschouwd als voorschrijfinformatie of medisch advies, en uit deze samenvatting mogen geen conclusies over producten, behandelingen of behandelingsopties worden getrokken.

Het laatste deel van deze samenvatting bevat meer administratieve gegevens in verband met dit onderzoek.

Inhoudsopgave

Samenvatting van de resultaten van een klinisch onderzoek	1
WAT WAS HET DOEL VAN DIT ONDERZOEK?.....	2
WAAR EN WANNEER WERD DIT ONDERZOEK UITGEVOERD?.....	3
WIE NAM DEEL AAN DIT ONDERZOEK?	4
WAT GEBEURDE ER TIJDENS DIT ONDERZOEK?.....	5
WAT WAREN DE BELANGRIJKSTE RESULTATEN VAN DIT ONDERZOEK?	6
WAT WAREN DE ANDERE RESULTATEN VAN DIT ONDERZOEK?	7
WELKE MOGELIJKE BIJWERKINGEN WERDEN TIJDENS DIT ONDERZOEK WAARGENOMEN?	8
IN WELKE MATE WAS DIT ONDERZOEK NUTTIG?	10
WAAR KAN IK MEER INFORMATIE OVER DIT ONDERZOEK VINDEN?	10

WAT WAS HET DOEL VAN DIT ONDERZOEK?

Psoriasis is een veel voorkomende, langdurige huidaandoening. Het wordt veroorzaakt door veranderingen in het immuunsysteem van een patiënt die leiden tot veranderingen in de groei en ontwikkeling van huidcellen. Deze veranderingen veroorzaken rode, jeukende, schilferende plekken, die 'plaques' worden genoemd, en zich op de huid ontwikkelen. Er bestaat geen geneesmiddel tegen psoriasis. Er zijn behandelingen beschikbaar om de symptomen van psoriasis te helpen beheersen.

Voor deze studie was ustekinumab een onderzoeksbehandeling, die werd onderzocht voor de behandeling van matige tot ernstige plaque psoriasis bij kinderen van 6 tot 11 jaar oud. Onderzoeksbehandelingen zijn behandelingen die worden onderzocht om na te gaan of ze als medicijn gebruikt kunnen worden.

Binnen één enkel onderzoek willen onderzoekers normaal gesproken verschillende vragen beantwoorden. Het belangrijkste doel van deze studie was om meer te weten te komen over de werkzaamheid en veiligheid van ustekinumab bij kinderen van 6 tot 11 jaar met matige tot ernstige plaque psoriasis. De onderzoekers wilden deze vragen beantwoorden:

- Bij hoeveel kinderen werd de psoriasis beoordeeld als 'verdwenen' of 'minimaal' nadat zij gedurende 12 weken ustekinumab hadden gekregen?
- Hoeveel kinderen hadden medische problemen na het krijgen van ustekinumab?

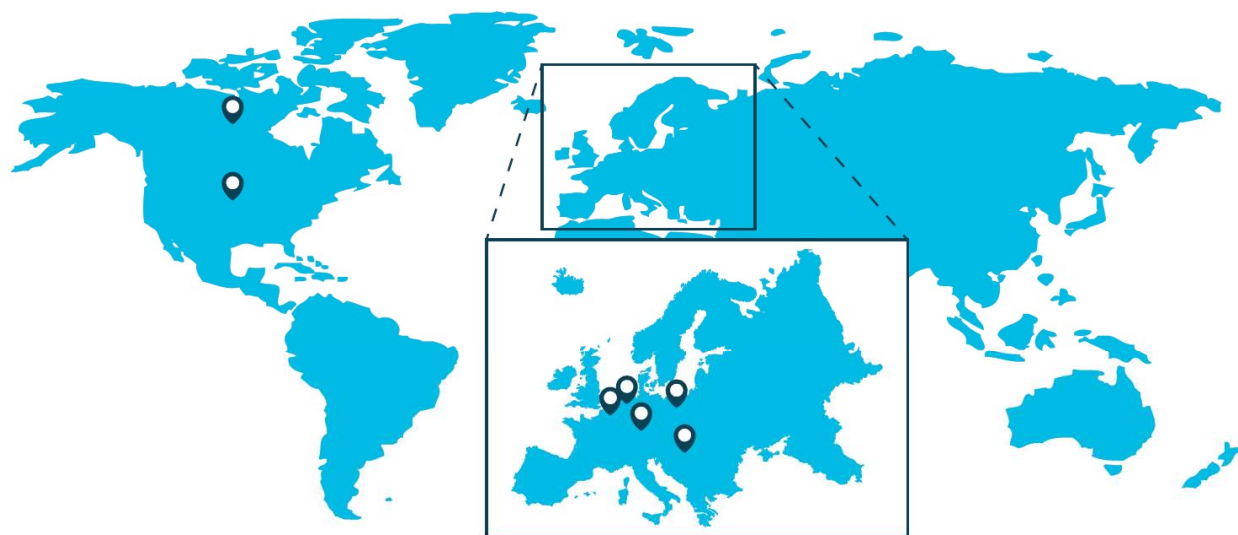
Aanvullende vragen die de onderzoekers in dit onderzoek wilden toetsen waren:

- Hoeveel kinderen hadden een verbetering in hun psoriasis van ten minste 75% na het krijgen van ustekinumab gedurende 12 weken?
- Hoeveel kinderen hadden een verbetering in hun psoriasis van ten minste 90% na het krijgen van ustekinumab gedurende 12 weken?
- Hoe is de manier waarop kinderen zich lichamelijk en emotioneel voelen (kwaliteit van leven) veranderd na 12 weken ustekinumab te hebben gekregen?
- Hoeveel ustekinumab kwam er in het bloed van de kinderen terecht als het onder de huid werd geïnjecteerd?

In deze samenvatting worden alleen de resultaten van de hierboven genoemde vragen besproken. Informatie over verdere vragen die de onderzoekers hebben gesteld, staat op de website die aan het einde van deze samenvatting wordt genoemd.

WAAR EN WANNEER WERD DIT ONDERZOEK UITGEVOERD?

Deze studie omvatte 44 kinderen in 7 landen.



NOORD-AMERIKA

Canada: 2
Verenigde Staten: 8

EUROPA

België: 4
Duitsland: 7
Hongarije: 10
Nederland: 1
Polen: 12

Dit hoofdonderzoek begon in juni 2016 en eindigde in oktober 2018, dus het duurde ongeveer 28 maanden. Een individuele deelnemer aan het onderzoek kon maximaal 56 weken (ongeveer een jaar) aan het hoofdonderzoek deelnemen. Sommige deelnemers die goed op de ustekinumab-behandeling reageerden, konden ustekinumab blijven krijgen in een verlengingsperiode van het onderzoek. Een individuele deelnemer aan het onderzoek die aan de verlenging op lange termijn deelnam, kon tot 264 weken (ongeveer 5 jaar) aan de studie deelnemen. Dit deel van het onderzoek eindigde in oktober 2020.

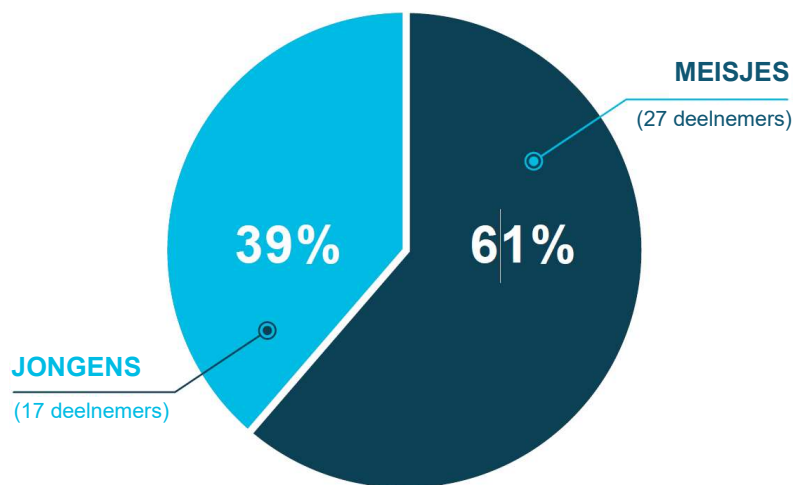
De onderzoekers hebben het onderzoek afgerond zoals gepland. Na afloop van het onderzoek heeft de opdrachtgever de gegevens nagekeken en van de resultaten een rapport gemaakt. Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten uit dat rapport.

WIE NAM DEEL AAN DIT ONDERZOEK?

De onderzoekers vroegen ouders of verzorgers van kinderen met matige tot ernstige plaque psoriasis of zij hun kind wilden laten deelnemen aan het klinische onderzoek. Bovendien werd aan de kinderen gevraagd of zij ermee instemden deel te nemen. Alle deelnemers:

- moesten matige tot ernstige psoriasis van het type plaque hebben;
- kwamen ofwel in aanmerking voor bepaalde types psoriasisbehandeling of hadden eerdere behandelingen gehad die rechtstreeks op de huid werden aangebracht, maar die niet doeltreffend waren gebleken;
- mochten geen andere vormen van psoriasis hebben;
- mochten geen behandelingen hebben ondergaan die van invloed zijn op psoriasis kort voor de eerste dosis ustekinumab.

In totaal waren 61% van de deelnemers meisjes (27) en 39% jongens (17). De helft (50%) van de deelnemers was 6 tot 9 jaar oud en de helft (50%) van de deelnemers was 10 tot 11 jaar oud toen zij aan het onderzoek begonnen.



WAT GEBEURDE ER TIJDENS DIT ONDERZOEK?

Dit was een fase 3-onderzoek. In het algemeen betekent dit dat de onderzoeksbehandeling werd onderzocht bij een groot aantal deelnemers om meer te weten te komen over de mogelijke werkzaamheid en veiligheid van de onderzoeksbehandeling. In dit onderzoek werd de mogelijke werkzaamheid en veiligheid van de onderzoeksbehandeling bestudeerd bij 44 kinderen van 6 tot 11 jaar oud met matige tot ernstige plaque psoriasis.

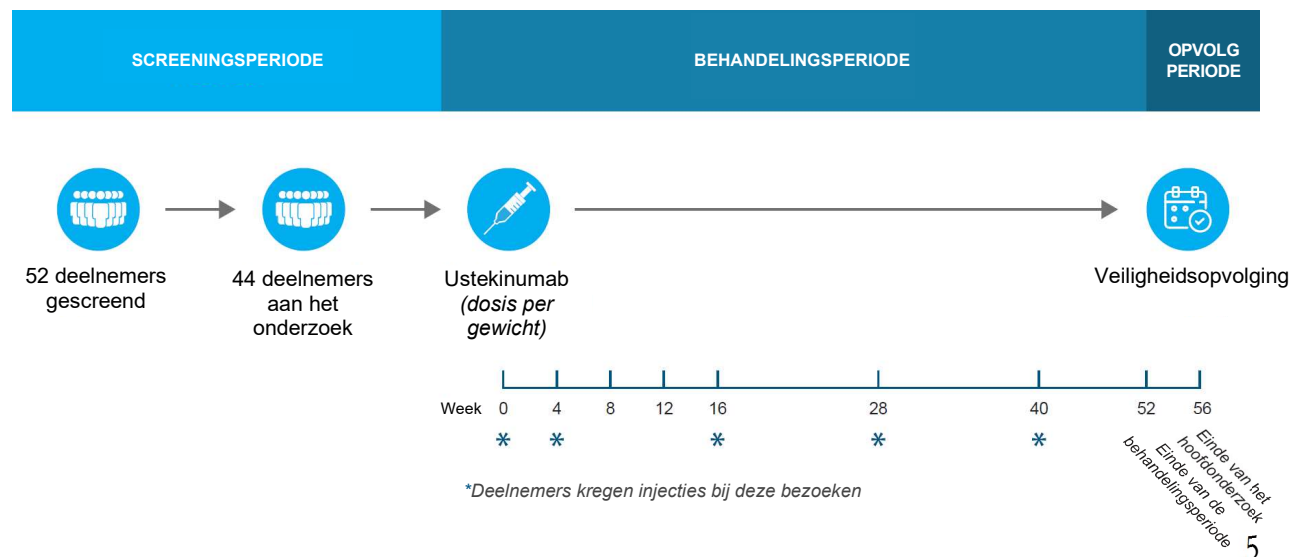
Dit onderzoek was 'open-label'. Dit betekent dat zowel de onderzoekers als de ouders of verzorgers wisten welke behandeling de kinderen kregen. Voordat de kinderen aan dit onderzoek konden deelnemen, controleerde een onderzoeksarts of elk kind voldeed aan de vereisten om aan het onderzoek deel te nemen.

Het onderzoek werd verdeeld in 3 delen ('perioden'), zoals blijkt uit onderstaande afbeelding.

In de screeningsperiode kwamen 52 kinderen in aanmerking voor deelname aan het onderzoek ('gescreend'), en 44 kinderen voldeden aan de voorwaarden voor deelname en deden mee aan het onderzoek.

In de hoofdbehandelingsperiode werd ustekinumab toegediend via een injectie onder de huid op de eerste dag van de behandeling (week 0), in week 4, en vervolgens om de 12 weken tot en met week 40 van het onderzoek. De toegediende dosis werd gebaseerd op het gewicht van het kind. Kinderen bezochten de onderzoekslocatie om de 4 weken tot en met week 16, en vervolgens om de 12 weken tot en met week 52. Bloedmonsters werden verzameld bij de screening en in de weken 4, 12, 16, 28, 40 en 52 om de waarden van ustekinumab en bepaalde andere eiwitten in het bloed te meten. Bij elk studiebezoek onderzochten de onderzoekers de huid van de kinderen en maten ze hun psoriasis met behulp van 2 verschillende beoordelingsschalen.

Er was een bezoek in het kader van veiligheidsoпvolgning in week 56, 4 weken nadat elk kind zijn/haar laatste bezoek aan de onderzoekslocatie had gebracht aan het einde van de behandelingsperiode in week 52.



Na week 52 gingen 28 kinderen die goed hadden gereageerd op de behandeling met ustekinumab, verder in een verlengingsperiode van het onderzoek waarin zij ustekinumab bleven ontvangen. Deze kinderen konden in de verlengingsperiode blijven tot ustekinumab beschikbaar was voor de eigen arts van het kind om aan hen voor te schrijven of tot week 264 van het onderzoek, afhankelijk van wat het eerst gebeurde.

WAT WAREN DE BELANGRIJKSTE RESULTATEN VAN DIT ONDERZOEK?

Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten van dit onderzoek voor de volledige groep kinderen. Er worden geen afzonderlijke resultaten voor individuele kinderen getoond. De resultaten voor een individueel kind kunnen verschillen van die voor de volledige groep kinderen. Een volledige lijst van de vragen die de onderzoekers wilden toetsen en de gedetailleerd overzicht van de resultaten zijn te vinden op de websites die aan het eind van deze samenvatting zijn vermeld.

Bij hoeveel kinderen werd de psoriasis beoordeeld als ‘verdwenen’ of ‘minimaal’ nadat zij gedurende 12 weken ustekinumab hadden gekregen?

Een methode die werd gebruikt om de ernst van de psoriasis van de kinderen te beoordelen was de Physician’s Global Assessment (PGA)-schaal. De PGA-schaal beoordeelt de ernst van de psoriasis op basis van 3 tekenen van psoriasis (roodheid, dikte en schilfering). Elk teken wordt beoordeeld van 0 tot 4, waarbij 4 het ernstigst is. De onderzoeksarts heeft deze scores bij elkaar opgeteld om tot de totale PGA-score te komen.

‘Verdwenen’ en ‘minimaal’ werden gedefinieerd als scores van respectievelijk 0 en 1 op de PGA. De onderzoekers ontdekten dat na het krijgen van de onderzoeksbehandeling 34 van de 44 kinderen (77%) in het onderzoek een PGA-score van 0 of 1 hadden in week 12.

Hoeveel kinderen hadden medische problemen na het krijgen van ustekinumab?

Medische problemen zijn alle medische problemen (zoals hoofdpijn) die zich tijdens het onderzoek hebben voorgedaan. Tot week 56 hadden 34 van de 44 kinderen (77%) die ustekinumab kregen medische problemen. Na week 56 hadden 19 van de 28 kinderen (68%) die deelnamen aan de verlengingsperiode medische problemen. Het meest voorkomende medische probleem was verkoudheid (11 van de 44 kinderen [25%] tot week 56 en 8 van de 28 kinderen [29%] van week 56 tot het einde van de verlengingsperiode).

Medische problemen waarvan de onderzoeksarts dacht dat ze verband konden houden met de onderzoeksbehandeling, worden besproken in het gedeelte over mogelijke bijwerkingen verderop in deze samenvatting.

WAT WAREN DE ANDERE RESULTATEN VAN DIT ONDERZOEK?

Dit onderzoek was niet ontworpen om afdoende antwoorden te vinden op de onderstaande vragen, dus zijn er vervolgonderzoeken nodig om de effecten van ustekinumab volledig te onderzoeken.

Hoeveel kinderen hadden een verbetering in hun psoriasis van ten minste 75% na het krijgen van ustekinumab gedurende 12 weken? Hoeveel kinderen hadden een verbetering in hun psoriasis van ten minste 90% na het krijgen van ustekinumab gedurende 12 weken?

Naast de PGA-schaal werd de Psoriasis Area and Severity Index (PASI) gebruikt om de ernst van de psoriasis van de kinderen te beoordelen. De PASI geeft de ernst van de psoriasis aan op basis van het percentage aangetaste huid voor elk van de 4 lichaamsdelen (hoofd, armen, romp en benen) en op basis van 3 tekenen van psoriasis (roodheid, dikte en schilfering). In elk van de 4 delen van het lichaam wordt de mate van psoriasis beoordeeld van 0 (geen huid aangetast) tot 6 (ten minste 90% van de huid aangetast). De 3 tekens worden ook gerangschikt van 0 (geen) tot 4 (maximaal) voor elk deel van het lichaam. De scores worden vervolgens gebruikt om de totale PASI te berekenen, die varieert van 0 (geen ziekte) tot 72 (meest ernstig).

In dit onderzoek hadden 37 van de 44 kinderen (84%) ten minste een verbetering van 75% in PASI-scores en 28 van de 44 kinderen (64%) hadden ten minste een verbetering van 90% na 12 weken ustekinumab te hebben ontvangen.

Vergelijkbare resultaten werden gevonden voor huidbeoordelingen die later in het onderzoek werden uitgevoerd. Meer informatie is te vinden op de websites die aan het eind van deze samenvatting zijn vermeld.

Hoe is de manier waarop kinderen zich lichamelijk en emotioneel voelen (kwaliteit van leven) veranderd nadat ze gedurende 12 weken een onderzoeksbehandeling hebben gekregen?

Tijdens het onderzoek (weken 0, 4, 12, 28 en 52) vulden de kinderen een vragenlijst in, de Children's Dermatology Life Quality Index (CDLQI). De CDLQI meet hoe huidaandoeningen de dagelijkse activiteiten beïnvloeden vanuit het oogpunt van het kind. Kinderen beantwoordden een reeks van 10 vragen. Ze werden gevraagd in te schatten wat de impact van hun psoriasis was op hoe ze zich de afgelopen week fysiek en emotioneel voelden. Hogere totaalscores betekenden dat de psoriasis van een kind een grotere negatieve impact had op zijn/haar dagelijkse activiteiten.

De onderzoekers ontdekten dat de kinderen een gemiddelde daling van hun CDLQI-score van 6,3 hadden na 12 weken ustekinumab te hebben gekregen. Een lagere score wijst erop dat de psoriasis van een kind minder negatieve gevolgen heeft voor zijn/haar dagelijkse activiteiten.

Dalingen in CDLQI-score werden ook waargenomen in week 28 en 52 van het onderzoek. Meer informatie is te vinden op de websites die aan het eind van deze samenvatting zijn vermeld.

Hoeveel ustekinumab kwam er in het bloed van de kinderen terecht als het onder de huid werd geïnjecteerd?

Tijdens het onderzoek namen de onderzoekers bloedmonsters van de kinderen om te meten hoeveel ustekinumab in het bloed van de kinderen terecht kwam nadat het onder de huid was geïnjecteerd. De onderzoekers vonden dat in dit de bloedswaarden van ustekinumab gemeten bij kinderen in dit onderzoek vergelijkbaar waren met de bloedwaarden gemeten bij adolescenten die in een eerder onderzoek ustekinumab hadden gekregen.

WELKE MOGELIJKE BIJWERKINGEN WERDEN TIJDENS DIT ONDERZOEK WAARGENOMEN?

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 medische problemen verband kunnen houden met de onderzoeksbehandeling.

In deze samenvatting wordt de term ‘mogelijke bijwerkingen’ gebruikt voor medische problemen (zoals hoofdpijn) die tijdens het onderzoek optraden en waarvan de onderzoeksarts dacht dat deze mogelijk verband hielden met de onderzoeksbehandeling. Dit deel is een samenvatting van deze mogelijke bijwerkingen. De aan het einde van deze samenvatting genoemde websites bevatten ook meer informatie over de medische problemen en mogelijke bijwerkingen die tijdens dit onderzoek zijn opgetreden.

Er werden bij geen van de deelnemers ernstige mogelijke bijwerkingen (die medisch belangrijk zijn, die bijvoorbeeld levensbedreigend zijn of overlijden veroorzaken, blijvende of belangrijke invaliditeit veroorzaken of verzorging in het ziekenhuis vereisen) gemeld. Geen enkele deelnemer stopte met de onderzoeksbehandeling tijdens het onderzoek vanwege een mogelijke bijwerking.

Wat waren de meest voorkomende mogelijke bijwerkingen?

In de onderstaande tabel staan de mogelijke bijwerkingen die tot week 56 bij ten minste 5% van de kinderen in het onderzoek werden gemeld.

Percentage kinderen met de meest voorkomende mogelijke bijwerkingen tot week 56	
Mogelijke bijwerking	Ustekinumab (Van de 44 kinderen)
Verkoudheid	14% (6)
Roodheid van de huid op de plek van de injectie	14% (6)
Keelpijn	7% (3)
Ontsteking van de amandelen	5% (2)

De onderstaande tabel toont de mogelijke bijwerkingen die werden gemeld bij ten minste 5% van de kinderen in het onderzoek vanaf week 56 tot het einde van de verlengingsperiode.

Percentage kinderen met de meest voorkomende mogelijke bijwerkingen vanaf week 56 tot het einde van de verlengingsperiode	
Mogelijke bijwerking	Ustekinumab (Van de 28 kinderen)
Verkoudheid	14% (4)
Keelpijn	7% (2)
Roodheid van de huid op de plek van de injectie	7% (2)

IN WELKE MATE WAS DIT ONDERZOEK NUTTIG?

Dit onderzoek heeft onderzoekers geholpen de effecten van ustekinumab bij kinderen beter te begrijpen en meer te weten te komen over de mogelijke voordelen en veiligheid van ustekinumab wanneer het wordt gebruikt om kinderen met matige tot ernstige plaque psoriasis te behandelen.

Vervolgonderzoeken bij kinderen met psoriasis zijn niet gepland.

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 welke onderzoeksbehandeling beter te begrijpen.

U moet altijd met een arts overleggen voordat u behandelingen die uw kind ondergaat, wijzigt of stopzet, of als u vragen hebt over deze onderzoeksresultaten.

Wij danken de kinderen en gezinnen die hebben deelgenomen aan dit klinische onderzoek.

WAAR KAN IK MEER INFORMATIE OVER DIT ONDERZOEK VINDEN?

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

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

https://www.clinicaltrials.gov/	Gebruik de onderzoeksreferentiecode NCT02698475 (US NCT-nummer)
https://www.clinicaltrialsregister.eu/	Gebruik de onderzoeksreferentiecode 2016-000121-40 (EudraCT-nummer)
https://www.toetsingonline.nl/to/ccmo_search.nsf/Searchform?OpenForm	Gebruik het dossiernummer NL59546.091.16

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

Volledige naam van het onderzoek:	Een open-label fase 3-onderzoek naar de werkzaamheid, veiligheid en farmacokinetiek van subcutaan toegediend ustekinumab bij de behandeling van matige tot ernstige chronische plaque psoriasis bij pediatrische proefpersonen van ≥ 6 tot < 12 jaar oud
Onderzoeksacroniem:	CADMUS Jr
Onderzochte behandeling:	JNJ-CNT01275 (ustekinumab)
Protocolnummer:	CNT01275PSO3013
Datum van deze samenvatting:	26 juli 2021
Opdrachtgever:	Janssen-Cilag International NV
Contactinformatie van de opdrachtgever:	PLS-Admin@its.jnj.com

Deze samenvatting is opgesteld door MMS Holdings. De opdrachtgever heeft de samenvatting nagekeken en goedgekeurd, en is verantwoordelijk voor de inhoud.

Deze samenvatting in begrijpelijke taal is bedoeld om de belangrijkste resultaten te beschrijven van een onderzoek dat Janssen heeft uitgevoerd. Dit document bevat niet voldoende informatie om aan een gezondheidsautoriteit te worden voorgelegd en mag voor geen enkel doel worden ingediend. Janssen geeft geen enkel recht om informatie uit deze samenvatting in begrijpelijke taal te gebruiken voor andere doelen, zoals in verband met onderzoeks- en/of ontwikkelingsprogramma's, voor het leveren van goederen of diensten, of op sociale media.