

Uno studio di confronto tra nintedanib e placebo per pazienti con fibrosi polmonare associata alla sclerodermia (Studio SENSIS[®], 1199.214)

La **sclerodermia** (chiamata anche sclerosi sistemica) è una malattia rara.


La sclerodermia può colpire la pelle e altri organi. In alcune persone, la sclerodermia causa **fibrosi polmonare**.


Questo **studio** ha cercato di rispondere alla domanda:



Un farmaco chiamato **nintedanib** può aiutare i pazienti con fibrosi polmonare associata alla sclerodermia?

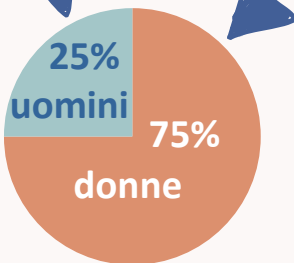
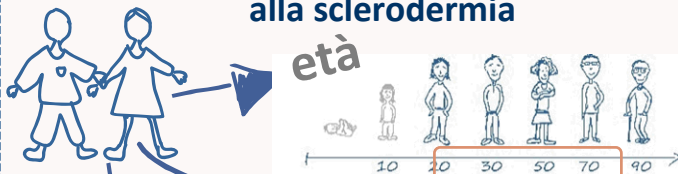
Ogni paziente ha assunto due volte al giorno

1  150 mg di nintedanib
o

1  placebo
non contenente alcun farmaco

I pazienti partecipanti

presentavano fibrosi polmonare associata alla sclerodermia

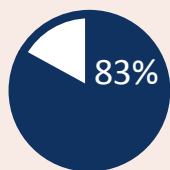


576 pazienti di 31 paesi in Europa, Canada, Stati Uniti, Asia e altre aree hanno preso parte allo studio.

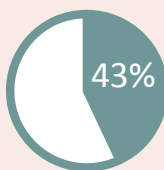
L'83% di pazienti trattati con nintedanib e il 43% dei pazienti trattati con placebo hanno manifestato **effetti indesiderati**.



nintedanib



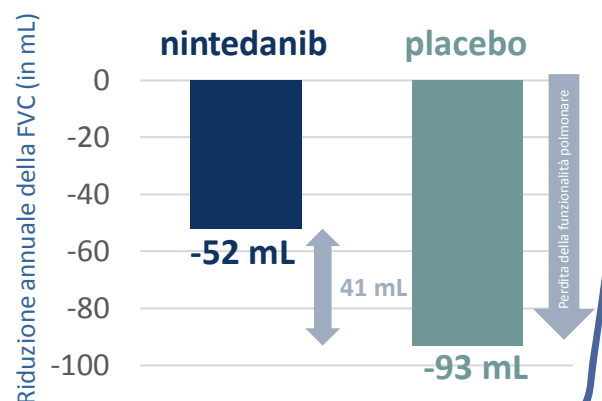
placebo



La **diarrea** è stata l'effetto indesiderato più comune: nel 68% dei pazienti trattati con nintedanib nel 20% dei pazienti trattati con placebo

RISULTATI

In media, dopo 1 anno di trattamento, il **nintedanib ha rallentato la perdita della funzionalità polmonare del 44%**.



SENSCIS®

Uno studio di confronto tra nintedanib e placebo per pazienti con fibrosi polmonare associata alla sclerodermia

Questo è il riassunto di uno studio clinico sulla sclerodermia (chiamata anche sclerosi sistemica). Questo riassunto descrive i risultati dello studio.

Ringraziamo tutti i pazienti che hanno preso parte a questo studio. Con la loro partecipazione hanno aiutato i ricercatori a trovare risposte a importanti domande su nintedanib e sul trattamento della fibrosi polmonare associata alla sclerodermia.



Di cosa si è occupato questo studio?

Questo studio è stato condotto per verificare se un farmaco chiamato nintedanib è in grado di aiutare i pazienti con sclerodermia, che sviluppano fibrosi polmonare a causa della loro malattia. La sclerodermia è una malattia rara che può causare l'ispessimento e l'indurimento (fibrosi) della pelle e di altri organi.

In numerose persone, la sclerodermia causa fibrosi polmonare (chiamata anche malattia interstiziale polmonare). La fibrosi polmonare irrigidisce e ispessisce il tessuto dei polmoni, rendendo difficoltosa la respirazione. Spesso, la fibrosi polmonare peggiora nel corso del tempo.



Perché è stato necessario condurre questo studio?

Non esistono numerose opzioni di trattamento per i pazienti con sclerodermia, che sviluppano fibrosi polmonare a causa della loro malattia. Sono necessari nuovi trattamenti.



Quali farmaci sono stati studiati?

Abbiamo studiato il farmaco nintedanib. I ricercatori pensano che il nintedanib possa bloccare i segnali biologici che hanno luogo nel processo di indurimento del tessuto (fibrosi). Il nintedanib è utilizzato per trattare una malattia chiamata fibrosi polmonare idiopatica, un altro tipo di fibrosi polmonare. Nella fibrosi polmonare idiopatica la funzionalità polmonare peggiora con la progressione della malattia. Il nintedanib può contribuire a rallentare il peggioramento della funzionalità polmonare. Il nintedanib è una capsula da deglutire.

Metà dei pazienti che hanno partecipato a questo studio ha preso il nintedanib, mentre l'altra metà il placebo. Le capsule del placebo erano esattamente uguali alle capsule del nintedanib, ma non contenevano alcun farmaco. Abbiamo confrontato il nintedanib con il placebo per capire se il nintedanib è efficace in pazienti con fibrosi polmonare associata alla sclerodermia.



Chi ha preso parte allo studio?

Hanno preso parte allo studio pazienti adulti con sclerodermia, che avevano sviluppato fibrosi polmonare a causa della loro malattia.

Complessivamente, hanno partecipato allo studio 576 pazienti. 433 pazienti (75%) erano donne e 143 pazienti (25%) erano uomini. L'età media era 54 anni. Il paziente più giovane aveva 20 anni e il più anziano 79 anni.

Questo studio è stato condotto in Europa, Canada, Stati Uniti, Asia e altre aree. La tabella sottostante indica dove è stato condotto lo studio.

Area	Paesi	Numero di pazienti
Europa	Austria, Belgio, Repubblica Ceca, Danimarca, Finlandia, Francia, Germania, Grecia, Irlanda, Italia, Paesi Bassi, Norvegia, Polonia, Portogallo, Spagna, Svezia, Svizzera, Regno Unito	266
Canada e Stati Uniti	Canada, Stati Uniti	142
Asia	Cina, India, Giappone, Malesia, Tailandia	130
Altre aree	Argentina, Australia, Brasile, Cile, Israele, Messico	38



Come è stato condotto questo studio?

I pazienti sono stati divisi in 2 gruppi. L'assegnazione all'uno o all'altro dei due gruppi è stata decisa a caso. Un gruppo di pazienti ha preso il nintedanib, mentre l'altro gruppo di pazienti il placebo. Ogni paziente ha avuto la stessa probabilità di trovarsi nel gruppo nintedanib o nel gruppo placebo. I pazienti non sapevano se stavano assumendo il nintedanib o il placebo. Neppure i medici lo sapevano.

I pazienti hanno preso le capsule di nintedanib o quelle di placebo due volte al giorno. Tutti i pazienti hanno iniziato il trattamento con una dose di 150 milligrammi (mg) due volte al giorno. In caso di effetti indesiderati dei pazienti, i medici hanno potuto ridurre la dose a 100 mg due volte al giorno. I pazienti hanno anche potuto sospendere l'assunzione delle capsule per un certo tempo.



Secondo quanto programmato, i pazienti dovevano rimanere nello studio per almeno 1 anno. I pazienti sono rimasti nello studio per la durata massima di circa 2 anni. In questo periodo, i pazienti hanno fatto visita regolarmente ai loro medici. Durante queste visite, i medici hanno raccolto informazioni sulla salute di ciascun paziente.



È stato usato un test della funzionalità polmonare per valutare se il nintedanib poteva rallentare la perdita della funzionalità polmonare. Il test ha misurato in millilitri (mL) quanta aria un paziente poteva soffiare dentro un dispositivo. Questa misurazione si chiama 'Capacità vitale forzata' o 'CVF'. Abbiamo misurato il cambiamento della CVF nell'arco di 1 anno. Ad una riduzione della CVF in 1 anno è corrisposta una perdita della funzionalità polmonare.



Abbiamo inoltre voluto verificare se il nintedanib può ridurre l'ispessimento della pelle. A tale scopo, i medici hanno controllato lo spessore della pelle in diverse parti del corpo dei pazienti. Successivamente, abbiamo calcolato un punteggio, chiamato Rodnan Skin Score modificato o mRSS. Abbiamo confrontato i punteggi dello spessore della pelle all'inizio dello studio con quelli dopo 1 anno dall'inizio dello studio.



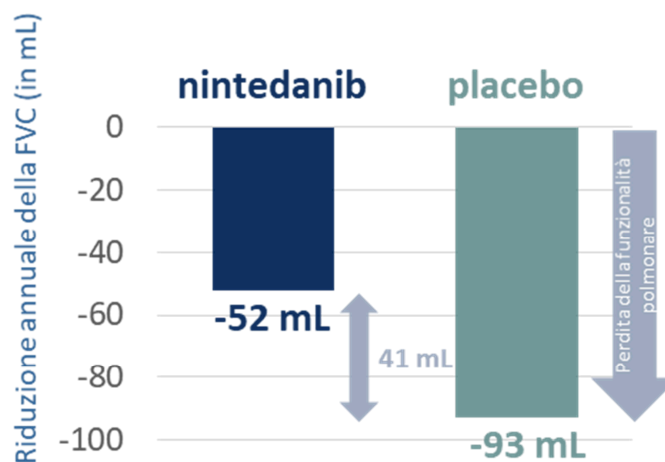
Abbiamo inoltre voluto capire se il nintedanib può migliorare la qualità di vita dei pazienti correlata al loro stato di salute. A tal fine, i pazienti hanno risposto ad un questionario chiamato St. George's Respiratory Questionnaire (SGRQ). I pazienti hanno risposto a domande che riguardavano l'entità del disagio causato loro dai problemi respiratori e quanto questo influenzava la loro vita. Abbiamo utilizzato le risposte di ciascun paziente per calcolare il punteggio SGRQ. Abbiamo confrontato i punteggi all'inizio dello studio con quelli dopo 1 anno dall'inizio dello studio.



Quali sono stati i risultati di questo studio?



Con la progressione della fibrosi polmonare associata alla sclerodermia ci si aspetta una perdita della funzionalità polmonare. Il grafico mostra la perdita annua media della funzionalità polmonare nei pazienti trattati con il nintedanib (barra blu a sinistra) e nei pazienti trattati con il placebo (barra verde a destra). In media, dopo 1 anno di trattamento il nintedanib ha rallentato la perdita della funzionalità polmonare del 44%.



Abbiamo eseguito test statistici sui risultati. Questi test hanno mostrato che è improbabile che la differenza tra i gruppi trattati sia stata casuale.



Il nintedanib non ha ridotto l'ispessimento della pelle. Sia nel gruppo nintedanib che nel gruppo placebo, in media l'ispessimento della pelle si è ridotto leggermente dopo 1 anno. Tuttavia, non c'è stata alcuna differenza significativa tra i gruppi.

















Il nintedanib non ha migliorato la qualità di vita dei pazienti correlata allo stato di salute, misurata con il questionario SGRQ. Entrambi i gruppi hanno mostrato mediamente solo piccolissime variazioni del punteggio SGRQ dopo 1 anno. Non c'è stata alcuna differenza significativa tra i gruppi.



I pazienti hanno manifestato effetti indesiderati?

Gli effetti indesiderati sono problemi di salute che secondo i medici sono stati causati dai farmaci dello studio. In questo studio, 238 pazienti su 288 (83%) trattati con nintedanib hanno manifestato effetti indesiderati. 125 pazienti su 288 (43%) trattati con placebo hanno manifestato effetti indesiderati.

La tabella seguente mostra gli effetti indesiderati più comuni osservati nei pazienti trattati con nintedanib.

	Nintedanib (288 pazienti)		Placebo (288 pazienti)	
Diarrea	197 pazienti (68%)		57 pazienti (20%)	
Nausea	71 pazienti (25%)		21 pazienti (7%)	
Vomito	51 pazienti (18%)		12 pazienti (4%)	
Mal di stomaco	22 pazienti (8%)		9 pazienti (3%)	
Perdita di peso	20 pazienti (7%)		4 pazienti (1%)	
Perdita di appetito	18 pazienti (6%)		8 pazienti (3%)	

Alcuni effetti indesiderati sono stati di grado severo, poiché hanno richiesto una visita o un ricovero in ospedale, sono stati potenzialmente letali oppure fatali. Gli effetti indesiderati sono stati severi anche se hanno causato disabilità o se il medico li ha definiti severi per altri motivi. In questo studio, 14 pazienti (5%) del gruppo nintedanib hanno manifestato effetti indesiderati severi. 6 pazienti (2%) del gruppo placebo hanno manifestato effetti indesiderati severi. 1 paziente del gruppo nintedanib è morto per un effetto indesiderato. La causa della morte è stata una lesione polmonare. Nessun paziente del gruppo placebo è morto per effetti indesiderati.



Dove si possono reperire maggiori informazioni?

Si possono reperire maggiori informazioni su questo studio nei seguenti siti web:

www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search

Ricerca in base al numero EudraCT: 2015-000392-28

www.clinicaltrials.gov

Ricerca in base al numero NCT: NCT02597933

Un riassunto scientifico dello studio sarà disponibile nel seguente sito web nel novembre 2019:

www.trials.boehringer-ingelheim.com Ricerca in base al numero dello studio: 1199.214

Boehringer Ingelheim ha sponsorizzato questo studio.

Il titolo completo dello studio è:

‘SENSCIS®: A double blind, randomised, placebo-controlled trial evaluating efficacy and safety of oral nintedanib treatment for at least 52 weeks in patients with ‘Systemic Sclerosis associated Interstitial Lung Disease’(SSc-ILD)’.

Questo è uno studio di fase III.

Questo studio è iniziato nel novembre 2015 ed è terminato nel novembre 2018.



Ci sono studi di follow-up?

Se condurremo eventuali ulteriori studi clinici con nintedanib, gli stessi potranno essere cercati nei siti web pubblici elencati nella sezione qui sopra. Per trovare questi studi digitare "nintedanib".

I pazienti del gruppo nintedanib e del gruppo placebo che hanno completato il trattamento di questo studio hanno potuto partecipare a uno studio di follow-up SENSCIS-ON® (numero dello studio: 1199.225). Nello studio SENSCIS-ON® tutti i pazienti sono trattati con nintedanib. Lo studio SENSCIS-ON® è ancora in corso.

Riconoscimenti

Cogliamo l'occasione per ringraziare le seguenti organizzazioni di pazienti impegnate nella sclerodermia per la consulenza fornita nella definizione e conduzione dello studio clinico e nella stesura di questo riassunto per il pubblico:

- Asociación Española de Esclerodermia, Spagna
- Associação Portuguesa de Doentes com Esclerodermia, Portogallo
- Federation of European Scleroderma Associations aisbl. (FESCA)
- Gruppo Italiano per la Lotta alla Sclerodermia (GILS), Italia
- Scleroderma and Raynaud's UK
- Scleroderma Canada
- Scleroderma Foundation, Stati Uniti
- Scleroderma Research Foundation, Stati Uniti
- Sklerodermie Selbsthilfe e.V., Germania
- Sklerodermiforeningen, Danimarca

Nota importante

Questo riassunto presenta solo i risultati di uno studio e potrebbe non essere rappresentativo di tutti i dati a disposizione sul medicinale studiato. Solitamente, vengono condotti più studi per capire il meccanismo di funzionamento e gli effetti collaterali di un medicinale. Altri studi potrebbero avere risultati differenti.

Si raccomanda di non modificare la terapia sulla base dei risultati di questo studio senza aver prima consultato il proprio medico curante. Consultare sempre il proprio medico curante in merito alla propria specifica terapia.

Boehringer Ingelheim ha redatto il presente riassunto per il pubblico conformemente agli obblighi di trasparenza previsti dall'Unione Europea.

©Boehringer Ingelheim International GmbH.

Icons [®]Fotolia by Matthias Enter