



Titel:	Eine globale, randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von Nucleosiran bei Patienten mit Transthyretin-bedingter Amyloidose mit Kardiomyopathie (ATTR-Amyloidose mit Kardiomyopathie)
Kurztitel:	Eine Studie zu Nucleosiran bei Menschen mit einer ATTR-Amyloidose mit Herzerkrankung
EU-Prüfungsnummer:	2024-519917-72

WESHALB IST DIESE STUDIE NOTWENDIG?

Die **Transthyretin-bedingte Amyloidose (ATTR-Amyloidose)** ist eine seltene und schwere Erkrankung. Sie tritt auf, wenn sich im Körper eine zu große Menge an dem Eiweiß (Protein) **Transthyretin (TTR)** ansammelt, beispielsweise im Herzen und in den Nerven. Wenn sich TTR im Herzen ansammelt, wird der Herzmuskel dick und steif. Dies führt zu einem Herzversagen. Wenn sich die Erkrankung verschlechtert, müssen Menschen mit Herzproblemen unter Umständen häufiger ins Krankenhaus. Wenn sie keine Behandlung erhalten, kann es außerdem sein, dass sie innerhalb von 2 bis 5 Jahren nach der Diagnose sterben.

Forschende untersuchen derzeit ein neues Arzneimittel namens **Nucleosiran**. Nucleosiran ist ein **RNAi**-basiertes Medikament. Das bedeutet, dass das Arzneimittel mit dem Körper zusammenarbeitet. Gemeinsam blockieren oder verlangsamen sie die krankhafte Ansammlung des Proteins TTR. Die Forschenden hoffen, dass Nucleosiran die Verschlechterung der Erkrankung verlangsamen oder verhindern kann, wenn es die Menge am Protein TTR im Körper verringert.

WAS SIND DIE ZIELE DIESER STUDIE UND WIE WERDEN SIE GEMESSEN?

Die Forschenden möchten feststellen, ob Nucleosiran sicher ist und Menschen mit einer ATTR-Amyloidose mit einer Herzerkrankung (bezeichnet als **Kardiomyopathie**) helfen kann. Im Hinblick auf die Ziele dieser Studie wird Nucleosiran mit einem Placebo verglichen. Das Placebo sieht aus wie Nucleosiran, enthält aber keinen Wirkstoff.

Ziele der Studie	Wie die Forschenden die Ziele messen
Hauptziel	
Herauszufinden, ob Nucleosiran herzbezogene Ereignisse (wie Krankenhausaufenthalte, dringende Arztbesuche oder Todesfälle) verringern kann.	Erfassung der Anzahl der herzbezogenen Ereignisse, einschließlich der Todesfälle.
Nebenziele	
Herauszufinden, ob Nucleosiran im Hinblick auf andere Herzprobleme und Todesfälle einen Nutzen hat.	Folgendes wird erfasst: • Zeit bis zum ersten herzbezogenen Ereignis oder bis zum ersten Todesfall unabhängig von der jeweiligen Todesursache. • Anzahl der Todesfälle unabhängig von der jeweiligen Todesursache. • Anzahl der herzbezogenen Ereignisse (es könnten mehrere auftreten).





Herauszufinden, ob Nucleciran den Gesundheitszustand der Studienteilnehmer und deren Lebensqualität im Hinblick auf ihre jeweilige Herzerkrankung verbessert.

Zu Beginn ihrer Studienteilnahme füllen die Teilnehmer einen Fragebogen aus. Darin geben sie an, ob und inwieweit sich ihre Herzprobleme verändert haben und welche Auswirkungen dies jeweils auf ihren Alltag hatte.

WER KANN AN DER STUDIE TEILNEHMEN?

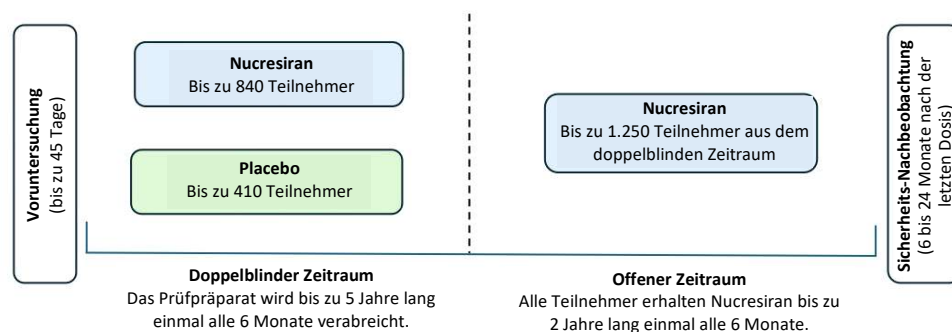
An dieser Studie nehmen etwa **1.250 Erwachsene** mit einer ATTR-Amyloidose mit Kardiomyopathie teil. Die Teilnehmer sind **18 bis 85 Jahre alt**. Die Teilnehmer dürfen weiterhin andere Arzneimittel anwenden, die die Symptome der ATTR-Amyloidose lindern, aber anders wirken als Nucleciran. Die Studie wird an etwa **210 Prüfzentren** auf der ganzen Welt durchgeführt.

WIE IST DIE STUDIE AUFGEBAUT?

Jeder Teilnehmer kann bis zu 8 Jahre an der Studie teilnehmen. Die Studie besteht aus 4 Teilen. Die Teilnahme beginnt mit einem **Voruntersuchungszeitraum**. In diesem Zeitraum überprüfen die Forschenden, ob eine Teilnahme an der Studie für die jeweilige Person tatsächlich infrage kommt.

- **Doppelblinder Zeitraum:** Die Teilnehmer erhalten alle 6 Monate Nucleciran oder das Placebo. In diesem Teil der Studie wissen weder die Teilnehmer noch der Prüfarzt, wer Nucleciran und wer das Placebo erhält. Diese Vorgehensweise bezeichnet man als **doppelblind**.
- **Offener Zeitraum:** Nach dem Ende des doppelblinden Zeitraums und innerhalb von 9 Monaten nach ihrer letzten Dosis können die Teilnehmer an einem offenen Zeitraum teilnehmen. Hier wissen sowohl der Prüfarzt als auch die Teilnehmer, dass alle Teilnehmer Nucleciran erhalten. Diese Vorgehensweise bezeichnet man als **offen**.

Während der gesamten Studie überwachen die Ärzte die Teilnehmer auf etwaige medizinische Probleme (sogenannte unerwünschte Ereignisse). Sie bewerten bei allen Teilnehmern den Gesundheitszustand des Herzens. Sie führen verschiedene Untersuchungen durch, darunter Blutuntersuchungen und Herzuntersuchungen mittels bildgebender Verfahren. Außerdem beurteilen Sie die Lebensqualität. Damit wollen sie herausfinden, ob Nucleciran sicher und wirksam ist. Nach der letzten Dosis des offenen Zeitraums dauert die Studienteilnahme noch bis zu 24 Monate. Dies ist der **Nachbeobachtungszeitraum bezüglich der Sicherheit**.



WIE WIRD DAS PRÜFPRÄPARAT VERABREICHT?

Der Prüfarzt verabreicht Nucleciran beziehungsweise das Placebo einmal alle 6 Monate über eine Spritze unter die Haut.





WELCHE RISIKEN UND WELCHER NUTZEN BESTEHEN FÜR DIE TEILNEHMER?

Die Forschenden glauben, dass Nucleosiran helfen kann, bei Menschen mit einer ATTR-Amyloidose mit Kardiomyopathie Herzprobleme zu verringern. Es ist jedoch nicht sicher, ob alle Teilnehmer einen Nutzen haben werden. Mögliche Nebenwirkungen sind beispielsweise Reaktionen an der Injektionsstelle, Leberprobleme und ein niedriger Vitamin-A-Spiegel. Weitere Informationen zum Nutzen und zu den Risiken finden Sie im Prüfplan der Studie.

WO KANN ICH MEHR ÜBER DIE STUDIE ERFAHREN?

Für weitere Einzelheiten zu dieser Studie sprechen Sie bitte mit einem Arzt oder besuchen Sie:

www.clinicaltrialsregister.eu 2024-519917-72

Diese Zusammenfassung wurde unter Verwendung von Hilfsmitteln erstellt, bei denen künstliche Intelligenz (KI) zum Einsatz kam. Anschließend wurde diese Zusammenfassung von Personen, die sich mit dieser Studie auskennen, ergänzt, überprüft und überarbeitet.

