

**Rapport og sluttmelding** Skjema for løpende rapport eller sluttmelding til de regionale komiteer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk (REK)

2012/1996-14

Dokument-id: 1021075 Dokument mottatt 30.04.2018

## **En enarmet , åpen, fase 2 multisenter studie for å vurdere sikkerhet ved bruk av vismodegib (GDC-0449) hos pasienter med lokalavansert eller metastatisk basalcellekarsinom. (2012/1996)**

---

### **1. Generelle opplysninger**

#### **a. Prosjektleder**

CRIStin Person ID	13617
Navn:	Åse Bratland
Akademisk grad:	MD PhD
Klinisk kompetanse:	Onkolog
Stilling:	Overlege
Arbeidssted:	Oslo Universitetssykehus
Arbeidsadresse:	Kreftklinikken
Postnummer:	0310
Sted:	Oslo
Telefon:	22934000
Mobiltelefon:	40243735
E-post adresse:	brt@ous-hf.no

#### **b. Prosjekt**

Hvilket prosjekt gjelder sluttmeldingen/rapporten?

En enarmet , åpen, fase 2 multisenter studie for å vurdere sikkerhet ved bruk av vismodegib (GDC-0449) hos pasienter med lokalavansert eller metastatisk basalcellekarsinom. (2012/1996)

## 2. Sluttmelding/rapport og etisk vurdering

### Sluttmelding

---

*Kortfattet, allment forståelig framstilling av prosjektets konklusjoner. Dette gjelder både positive og negative funn.*

Det primære endepunktet for denne studien var å evaluere sikkerheten ved bruk av vismodegib hos pasienter med lokal-avansert og metastatisk basalcellecarcinom (laBCC og mBCC). Det ble sett at de fleste pasientene tolererte behandlingen, og median behandlingstid var omtrent 9 måneder. De vanligste bivirkningene som ble sett var muskelspasmer (67,2%), alopecia (61,7%), smaksforstyrrelser (54,9%), vekttap (41,9%), nedsatt appetitt (25,3%), asthenia (24,4%), kvalme (18,4%), tap av smakssans (17,5%), diaré (16,6%), fatigue (16,5%) og arthralgi (10,5%).

Adverse events av grad 3 eller høyere ble rapportert hos 45,5% av pasientene, og de hendelsene som ble rapportert i minst 2% av pasientene var muskelspasmer, vekttap, økt GGT, hypertensjon, smaksforstyrrelser og asthenia.

Totalt 122 pasienter døde i løpet av studien. Av disse døde 74 pasienter av adverse events og 34 av sykdomsprogresjon.

Serious adverse events (SAE) ble rapportert for 24,9% av pasientene. SAEer som ble rapportert for minst 0,5% av pasientene var pneumoni, generell forverring i helsetilstand, Squamous Cell Carcinoma i huden (SCC), hjerteinfarkt, fall, gastroenteritt, hoftefraksjoner og besvimelse.

Totalt sett viser resultatene fra denne studien at sikkerhetsprofilen til vismodegib er i samsvar med hva man har sett i andre studier.

Sekundært endepunkt for studien var ulike effektparametre, og for pasientene i den effekt-evaluerbare populasjonen ble følgende resultater sett:

For pasienter med mBCC var Best Overall Respons Rate (BORR) 37,3%, og for laBCC pasienter var BORR 69,2%.

Responsvarighet og progresjonsfri overlevelse var henholdsvis 13,9 måneder og 12,9 måneder for mBCC og 18,9 måneder og 20,3 måneder for laBCC pasientene.

Total overlevelse lot seg ikke estimere da antall hendelser var for lavt i både laBCC og mBCC kohortene.

Også effektresultatene er i tråd med hva som er sett i andre vismodegib studier.

---

*Kortfattet redegjørelse for gjennomføringen av prosjektet i forhold til opprinnelig søknad og plan for gjennomføring.*

Prosjektet har stort sett blitt gjennomført i henhold til planen, men med noen endringer av

protokollen som har vært meldt til REK og godkjent. Studien ble avsluttet i Norge i 2015, men den har vært pågående i andre land inntil juni 2017. I Norge ble det inkludert 3 pasienter.

---

Lenke til eventuell publikasjon

Basset-Seguin N, Hauschild A, Kunstfeld R, et al. Vismodegib in patients with advanced basal cell carcinoma: Primary analysis of STEVIE, an international, open-label trial. European Journal of Cancer 2017; 86:334-348.

---

### 3. Vedlegg

#	Type	Filnavn	Lagt inn dato
1.	Sluttmelding / publikasjon	Synopsis CSR_Study MO25616.pdf	30.04.18

---

### 4. Ansvarserklæring

Jeg erklærer at prosjektet vil bli gjennomført

---

I henhold til gjeldende lover, forskrifter og retningslinjer

---

I samsvar med opplysninger gitt i denne søknaden

---

I samsvar med eventuelle vilkår for godkjenning gitt av REK

---