

# STEADY

SYSTEMIC TREATMENT EFFICACY  
IN ATOPIC DERMATITIS IN YOUNG  
CHILDREN AND ADOLESCENTS



MEDICAL  
UNIVERSITY  
OF LODZ



CLINICAL  
TRIALS  
UNIT



AGENCJA  
BADAŃ  
MEDYCZNYCH

Łódź, 27 maja 2024

*Szanowni Państwo*

*Drogi Koleżanki i Koledzy*

Wszyscy wiemy, że atopowe zapalenie skóry (AZS) jest przewlekłą, nawrotową chorobą zapalną skóry, dotyczącą głównie dzieci (15-30% populacji). W 90% przypadków rozpoczyna się przed 5 r.ż. U chorych z AZS częściej występują m.in. choroby układu sercowo-naczyniowego, chłoniaki, depresja, myśli samobójcze, co związane jest z przewlekłym stanem zapalnym skóry. Uporczywy świąd towarzyszący chorobie znamienne wpływa na zakłócenia snu, prowadząc do przewlekłego zmęczenia w ciągu dnia, niezdolności do prowadzenia codziennych czynności w szkole i pracy, drażliwości i zespołu deficytu uwagi (ADHD). Wskaźniki jakości życia u pacjentów z AZS są obniżone bardziej niż u chorych z cukrzycą typu I. Przy wyborze metody leczenia musimy brać pod uwagę nasilenie procesu chorobowego, jakość życia oraz choroby współistniejące. Pomimo uznanej konieczności włączenia leczenia ogólnego w celu zahamowania stanu zapalnego i kontroli procesu chorobowego, stanowi to istotny problem w praktyce klinicznej, gdyż nie ma zarejestrowanych leków do terapii tej dermatozy u dzieci. Nowością w leczeniu AZS w ostatnich latach jest lek biologiczny – dupilumab zarejestrowany jako lek pierwszego rzutu do leczenia ciężkiej postaci AZS u dorosłych, w chwili obecnej zarejestrowany oraz refundowany w ramach programu lekowego do leczenia dzieci powyżej 6 r.ż. oraz nowoczesny inhibitor kinazy janusowej – upadacitinib, zarejestrowany i refundowany > 12 r.ż.

Kryteria kwalifikacyjne do programu lekowego są dosyć restrykcyjne. Jednoznacznie należy też podkreślić, że program nie obejmuje dzieci poniżej 6 r.ż. Z drugiej zaś strony rekomendacje polskie, europejskie i światowe jednoznacznie wskazują na konieczność stosowania terapii ogólnych w najmłodszej populacji, w każdej sytuacji gdy klinicznie jest to uzasadnione.

Ogólnoustrojowe leki zalecane w rekomendacjach w terapii AZS obejmują m.in. cyklosporynę (CsA) i metotreksat (MTX). Leki te nie mają badań klinicznych pod kątem skuteczności oraz bezpieczeństwa leczenia u dzieci, stąd lekarze rzadko dokonują takiego wyboru, co implikuje pogorszeniem stanu psychofizycznego pacjentów i ich rodzin

**Nasz projekt wpisuje się w potrzeby pacjentów a także lekarzy zajmujących się profesjonalnie terapią atopowego zapalenia skóry.**

Niekommercyjne badanie kliniczne STEADY finansowane jest z funduszy Agencji Badań Medycznych, a beneficjentem jest Uniwersytet Medyczny w Łodzi. Główny zespół badawczy stanowią pracownicy – specjaliści dermatologii Kliniki Dermatologii, Dermatologii Dziecięcej i Onkologicznej UM w Łodzi, zlokalizowanej na terenie WSSz im. Wł. Biegańskiego w Łodzi. Głównym Badaczem jest Profesor Joanna Narbutt, a Koordynatorem Medycznym – Profesor Aleksandra Lesiak. Cały zespół badawczy posiada bardzo duże doświadczenie naukowe oraz w prowadzeniu badań klinicznych komercyjnych, w tym w populacji dziecięcej. Badacze są zaznajomieni z zasadami dobrej praktyki klinicznej (GCP). Badanie kliniczne przeprowadzone jest w Pododdziale Dermatologii Dziecięcej Kliniki Dermatologii, Dermatologii Dziecięcej i Onkologicznej UM w Łodzi, który przyjmuje pacjentów w wieku 0-18 lat z ciężkimi chorobami skóry, wymagającymi hospitalizacji. Ma wieloletnie i duże doświadczenie w leczeniu chorób skóry u dzieci. Rocznie w naszym oddziale hospitalizowanych jest średnio 430 dzieci z AZS, co wskazuje na duże doświadczenie całego Zespołu w diagnostyce oraz terapii tej ciężkiej dermatozy.

**Badanie kliniczne STEADY ma na celu ocenić skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cyklosporyny i metotreksatu u dzieci w leczeniu umiarkowanego do ciężkiego atopowego zapalenia skóry.**

**Populacją badaną są pacjenci (łącznie n=317) pomiędzy 2 a 18 r.ż. z umiarkowanym i ciężkim o nawrotowym przebiegu AZS, niereagujący na leczenie miejscowe i w ocenie badacza oraz na podstawie zastosowanych skal oceny ciężkości choroby wymagający terapii ogólnej, którzy wyrażą świadomą zgodę na udział w badaniu.**

Dodatkowo jest oceniany wpływ terapii na jakość życia pacjentów oraz członków ich rodzin, działania niepożądane, tolerancja leku i wyniki laboratoryjnych badań dodatkowych, a także czas utrzymywania się remisji po zakończeniu leczenia.

Podczas wizyty przesiewowej oceniane są kryteria włączenia i wyłączenia z badania oraz pobrane badania laboratoryjne kwalifikujące, dodatkowo zbierane są dane demograficzne jak i historia medyczna pacjenta.

Podczas wizyty randomizacyjnej pacjenci zostają losowo przydzieleni do grupy stosującej metotreksat, cyklosporynę lub terapię standardową (emolientoterapia, reaktywnie i proaktywnie miejscowe glikokortykosteroidy i miejscowe inhibitory kalcyneuryny).

Wszystkie leki (miejscowe, w tym emolienty oraz ogólne) są zapewnione przez Sponsora badania, czyli pacjenci nie ponoszą ich kosztów.

W kolejnych tygodniach pacjenci zgłaszają się na wizyty kontrolne.

Dodatkowo w trakcie badania dzieci poddawane są licznym konsultacjom medycznym, w tym psychologicznej, laryngologicznej i stomatologicznej.

Leczenie trwa 32 tygodni, a następnie do 52 tygodnia zostają w kontroli medycznej.

*Szanowni Państwo,*

Mamy obecnie w badaniu zrekrutowaną grupę ponad 200 dzieci. Mimo braku analiz statystycznych, widzimy, że proponowana holistyczna opieka nad pacjentami oraz włączana terapia wyraźnie przynosi ulgę i poprawia komfort życia naszych pacjentów.

W przypadku braku poprawy podczas stosowanego leczenia możemy naszym pacjentom zaproponować leczenie upadacytinibem lub dupilumabem w ramach programu lekowego B.124, gdyż jest on realizowany w naszej Klinice.

Zespół pracujących lekarzy jest ekspertami w terapii tej ciężkiej choroby i naszą misją jest pomóc każdemu choremu na atopowe zapalenie skóry, tak by objawy kliniczne i świąd nie stanowiły przeszkody w realizowaniu codziennych aktywności i planów.

Do badania zapraszamy wszystkich pacjentów pomiędzy 2. a 18. r.ż., którzy mają umiarkowaną lub ciężką postać AZS i u których stosowane miejscowe leczenie nie powoduje poprawy stanu klinicznego.

### **Dane kontaktowe:**

Oddział Dermatologii, Dermatologii Dziecięcej  
i Onkologicznej Wojewódzkiego Specjalistycznego Szpitala  
im. dr Wł. Biegańskiego w Łodzi  
ul. Kniaziewicza 1/5, 91-347 Łódź, pawilon T

Telefony kontaktowe:

- ✓ **502 447 611** – tel. do zespołu badaczy
- ✓ **660 424 204** – p. Małgorzata Tybura - sekretariat
- ✓ **603 756 804** - Prof. Joanna Narbutt (wyłącznie sms)

Ze względu na wagę problemu, jaki stanowi atopowe zapalenie skóry w populacji dziecięcej oraz zmieniające się opcje terapeutyczne, zwracamy się z uprzejmą prośbą do Państwa o propagowaniu informacji o naszym badaniu wśród Farmaceutów, Lekarzy, ale przede wszystkim Pacjentów.

Serdecznie Państwa zapraszam i zachęcam do współpracy

*Z wyrazami szacunku*

*Prof. dr hab. n. med. Joanna Narbutt*

