

ZUSAMMENFASSUNG DER ERGEBNISSE KLINISCHER PRÜFUNGEN IN EINFACHER SPRACHE

Sponsor (Auftraggeber der Prüfung): Kite, ein Gilead-Unternehmen

Kite-Prüfplannummer: KTE-C19-104

Datum der Prüfung: Februar 2016 bis März 2026



Titel der Prüfung in einfacher Sprache: Prüfung zu KTE-X19 bei Kindern und Jugendlichen mit akuter lymphoblastischer B-Vorläuferzell-Leukämie oder B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom

Kurzname der Prüfung: ZUMA-4

Datum dieser Zusammenfassung in einfacher Sprache: September 2026

In dieser Zusammenfassung sind keine Informationen enthalten, die nach diesem Datum verfügbar sind.

Vielen Dank

Vielen Dank an die Teilnehmer, die zur klinischen Prüfung zu **KTE-X19**, auch bekannt als **Brexucabtagen-Autoleucel**, beigetragen haben. Darüber hinaus vielen Dank an die Eltern und Betreuer der Teilnehmer.



Kite, ein Gilead-Unternehmen, ist der Sponsor dieser Prüfung. Diese Zusammenfassung wurde für Teilnehmer und die allgemeine Öffentlichkeit erstellt.

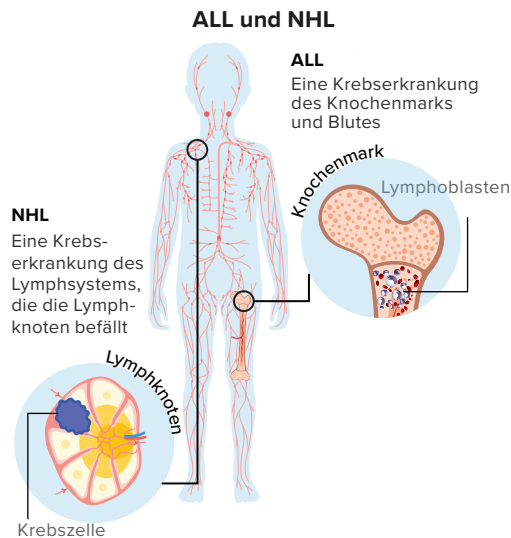
Wenn Sie Teilnehmer an der Prüfung waren und Fragen zu den Ergebnissen haben, wenden Sie sich bitte an einen Arzt oder ein Mitglied des Personals am Prüfzentrum.

Bevor Sie Änderungen an einer Behandlung vornehmen, sprechen Sie immer mit einem Arzt.



Allgemeine Informationen über die Prüfung

Was sind die akute lymphoblastische B-Vorläuferzell-Leukämie und das B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom?



Bei der **akuten lymphoblastischen B-Vorläuferzell-Leukämie (B-Vorläuferzell-ALL)** handelt es sich um einen Blutkrebs, der im Knochenmark beginnt, dem Weichgewebe in den Knochen, das Blutzellen bildet. Bei der B-Vorläuferzell-ALL produziert der Körper zu viele abnormale junge B-Zellen (Lymphoblasten), die nicht richtig funktionieren.

Das **B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom (B-Zell-NHL)** ist eine Gruppe von Blutkrebsarten, die reife B-Zellen betreffen. Diese abnormalen B-Zellen können unkontrolliert wachsen und Raumforderungen in den Lymphknoten oder anderen Teilen des Körpers bilden. Lymphknoten sind kleine Strukturen, die den Körper bei der Bekämpfung von Infektionen unterstützen.

Sowohl ALL als auch NHL können Menschen jeden Alters betreffen. Die B-Vorläuferzell-ALL tritt jedoch häufiger bei Kindern und jungen Menschen auf. Bei beiden Krankheiten können Krebszellen gesunde Blutkörperchen verdrängen und Symptome wie Fieber, Müdigkeit, häufige Infektionen, Blutergüsse oder Blutungen und geschwollene Lymphknoten verursachen.

Ärzte verwenden eine **Chemotherapie** (Medikamente, um Krebszellen abzutöten), um diese Krebsarten zu behandeln, aber manchmal kommt der Krebs wieder zurück, was Krebs-Rezidiv (r) genannt wird, oder spricht nicht auf eine Behandlung an, was als refraktäre (r) Erkrankung bezeichnet wird.

Was ist KTE-X19?

KTE-X19, auch Brexucabtagen-Autoleucel (Brexu-cel) genannt, ist eine Art **CAR-T-Zell-Therapie**. Es ist eine zugelassene Behandlung für Erwachsene mit B-Vorläuferzell-ALL und Mantelzell-Lymphom, einer Art von B-Zell-NHL. Diese Prüfung untersuchte, ob Brexu-cel Kindern, Jugendlichen und jungen Erwachsenen mit rezidiviertem oder refraktärem (r/r) B-Vorläuferzell-ALL oder r/r B-Zell-NHL helfen könnte.



Die **CAR-T-Zell-Therapie** ist eine Form der Krebsbehandlung, die die eigenen Immunzellen des Patienten nutzt. **CAR** steht für **chimärer Antigenrezeptor**, ein spezielles Protein, das in einem Labor hergestellt wird. Zur Herstellung von Brexu-cel werden T-Lymphozyten – eine Art von weißen Blutkörperchen, die bei der Bekämpfung von Infektionen helfen – durch ein Verfahren namens **Leukapherese** aus dem Blut des Patienten entnommen. Diese Zellen werden dann im Labor so verändert, dass sie das CAR-Protein exprimieren. Sobald sie bereit sind, werden die modifizierten Zellen (genannt CAR-T-Zellen, Brexu-cel) über eine Injektion in eine Vene zurück in den Blutkreislauf des Patienten verabreicht, wo ihre Aufgabe darin besteht, Krebszellen zu erkennen und zu zerstören.



Was war das Ziel der Prüfung?

Das Ziel dieser Prüfung war es, eine geeignete Dosis von Brexu-cel zu identifizieren und herauszufinden, wie sicher und wirksam es bei Kindern, Jugendlichen und jungen Erwachsenen mit r/r ALL oder r/r NHL ist.

Die wichtigsten Fragen, die die Forscher in dieser Prüfung beantworten wollten, waren:

- Bei wie vielen Teilnehmern traten **dosislimitierende Toxizitäten (DLT)** bei einer höheren Dosis von Brexu-cel auf?
- Wie viele Teilnehmer sprachen auf die Behandlung mit Brexu-cel an?

Die Forscher wollten außerdem wissen, ob die Teilnehmer während der Prüfung irgendwelche **Nebenwirkungen** hatten.



Eine **DLT** ist ein medizinisches Ereignis, das so schwerwiegend ist, dass der Prüfarzt die Dosis von Brexu-cel des Teilnehmers nicht erhöhen kann. Dies geschieht, um eine sichere Dosis des Medikaments zu finden.



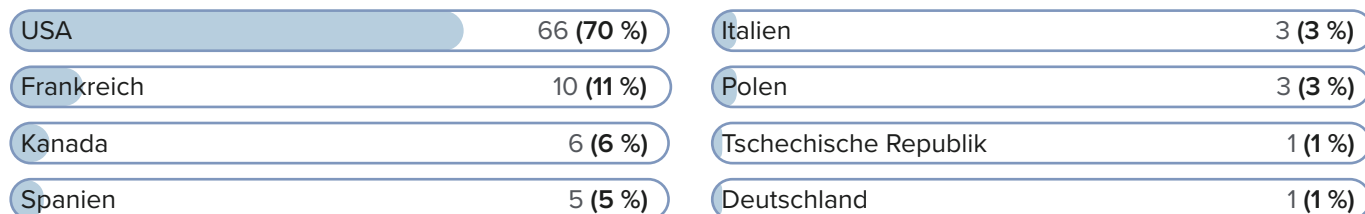
Wer hat an der Prüfung teilgenommen?

Insgesamt nahmen **95** Kinder, Jugendliche und junge Erwachsene an dieser Prüfung teil. Davon hatten **79** r/r ALL und **16** r/r NHL.

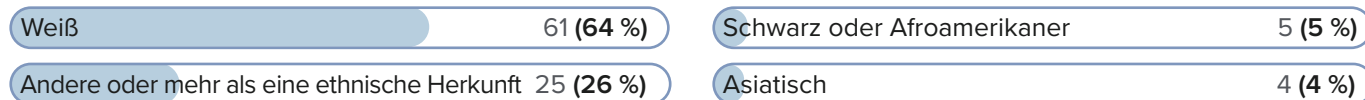
An der Prüfung konnten Personen teilnehmen, die:



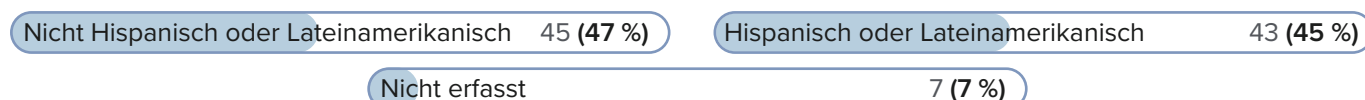
Die Teilnehmer aus jedem Land sind nachfolgend aufgeführt (Anzahl der Teilnehmer [%]).



Die ethnische Herkunft der Teilnehmer ist nachstehend aufgeführt (Anzahl der Teilnehmer [%]).



Die ethnische Zugehörigkeit der Teilnehmer ist nachfolgend aufgeführt (Anzahl der Teilnehmer [%]).



Das Alter der Teilnehmer ist nachfolgend aufgeführt (Anzahl der Teilnehmer [%]).



Das biologische Geschlecht der Teilnehmer ist nachfolgend aufgeführt (Anzahl der Teilnehmer [%]).



? Wie lief die Prüfung ab?

Vor der Teilnahme an der Prüfung führten die Forscher Tests durch, um festzustellen, ob die Personen die Prüfungsanforderungen erfüllten. Außerdem wurden Blutuntersuchungen, Knochenmarkuntersuchungen und Scans durchgeführt, um zu sehen, wie weit sich der Krebs ausgebreitet hat.

Dies war eine **offene** und **einarmige** Prüfung.



Offen bedeutet, dass der Teilnehmer, die Ärzte und das Studienpersonal wussten, dass die Teilnehmer Brexu-cel erhielten. **Einarmig** bedeutet, dass alle Teilnehmer das gleiche Medikament, nämlich Brexu-cel, erhielten.

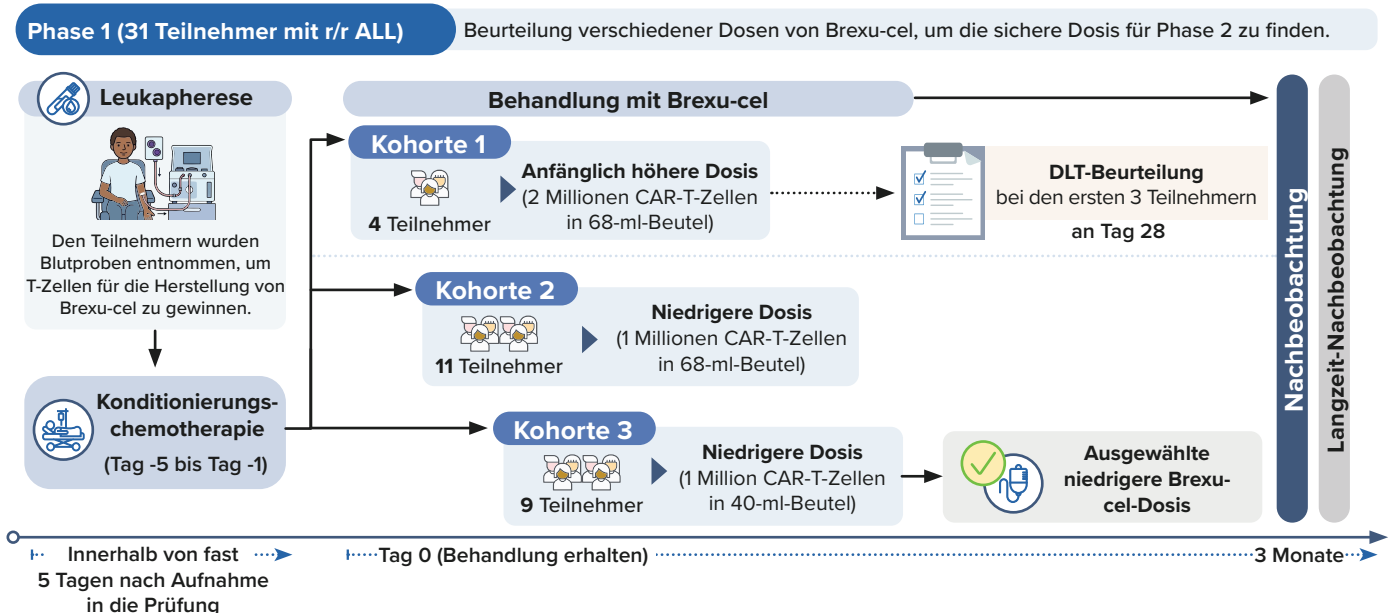
Zu Beginn der Studie unterzogen sich 95 Teilnehmer einer Leukapherese. Von diesen erhielten 81 eine **Konditionierungskemotherapie** und eine Behandlung mit Brexu-cel. Die **Konditionierungskemotherapie** reduziert die Lymphozyten, um Platz für das Wachstum und die effektive Wirkung der CAR-T-Zellen zu schaffen. Die Teilnehmer erhielten diese Therapie 3 Tage lang, um ihren Körper auf die Behandlung vorzubereiten. Alle Teilnehmer erhielten eine Einzeldosis Brexu-cel pro Kilogramm (kg) ihres Körpergewichts als langsame Injektion in eine Vene.

Die Prüfung bestand aus 2 Teilen: **Phase 1** und **Phase 2**. Phase 1 umfasste 31 Teilnehmer mit r/r ALL. Phase 2 umfasste 64 Teilnehmer: 48 mit r/r ALL und 16 mit r/r NHL.

In **Phase 1** untersuchten die Forscher verschiedene Dosen von Brexu-cel in 3 kleinen **Kohorten** von Teilnehmern mit r/r ALL. Eine **Kohorte** ist eine Gruppe von Teilnehmern, die die gleiche Dosis von Brexu-cel erhielten. Die Forscher untersuchten zunächst eine höhere Dosis und überwachten die Teilnehmer auf DLT. Anschließend untersuchten sie eine niedrigere Dosis in anderen 2 Kohorten, um eine sichere Dosis für Phase 2 zu identifizieren.

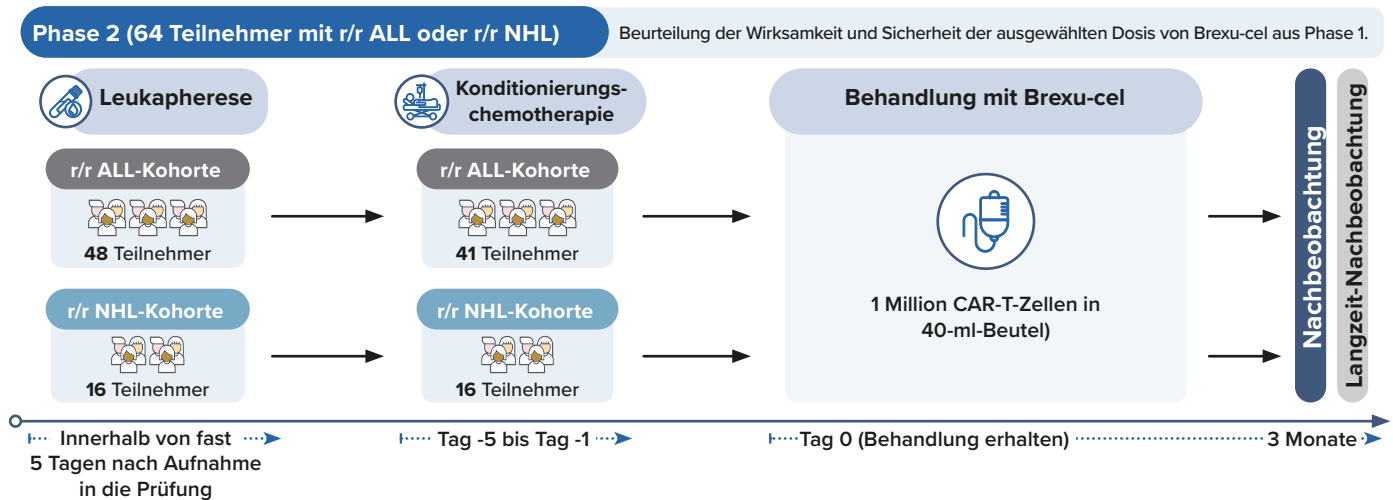
- **Kohorte 1:** 5 Teilnehmer hatten eine Leukapherese und 4 erhielten eine Konditionierungskemotherapie und Brexu-cel in einer Dosis von **2 Millionen CAR-T-Zellen pro kg in einem 68-ml-Beutel**.
- **Kohorte 2:** 13 Teilnehmer hatten eine Leukapherese und 11 erhielten eine Konditionierungskemotherapie und Brexu-cel in einer Dosis von **1 Million CAR-T-Zellen pro kg in einem 68-ml-Beutel**.
- **Kohorte 3:** 13 Teilnehmer hatten eine Leukapherese und 9 erhielten eine Konditionierungskemotherapie und Brexu-cel in einer Dosis von **1 Million CAR-T-Zellen pro kg in einem 40-ml-Beutel**.

Die Grafik unten zeigt den Behandlungsplan der Phase 1 der Prüfung:



In **Phase 2** beurteilten die Forscher die Sicherheit und Wirksamkeit der ausgewählten Dosis von Brexu-cel, **1 Million CAR-T-Zellen pro kg in einem 40-ml-Beutel**, in 2 zusätzlichen Kohorten, darunter 64 Teilnehmer mit **r/r ALL** oder **r/r NHL**.

Die Grafik unten zeigt den Behandlungsplan der Phase 2 der Prüfung:



Nachbeobachtung: Die Teilnehmer erhielten Brexu-cel im Krankenhaus und blieben dort für 7 bis 10 Tage zur Überwachung. Nach dem Verlassen des Krankenhauses kehrten sie 14 Tage, 28 Tage, 8 Wochen und 3 Monate nach der Behandlung zu Nachbeobachtungsbesuchen zurück.

Langzeit-Nachbeobachtung: Alle Teilnehmer wurden in eine separate Langzeit-Nachbeobachtungsprüfung (Prüfung KT-US-982-5968; NCT-Nummer: NCT05041309; EU-CT-Nummer: 2023-507041-28) überführt, sodass ihre Sicherheit für eine Gesamtdauer von 15 Jahren weiterhin überwacht werden konnte.

Die Prüfung wurde wie geplant abgeschlossen. Die Aufnahme zusätzlicher Teilnehmer mit r/r ALL wurde jedoch in Phase 2 der Studie aufgrund von Sicherheitsbedenken gestoppt, was zu weniger Teilnehmern mit r/r ALL führte als ursprünglich geplant.



Was waren die Ergebnisse der Prüfung?



Dies ist eine Zusammenfassung der Hauptergebnisse dieser Prüfung. Die individuellen Ergebnisse der einzelnen Teilnehmer können unterschiedlich sein und sind nicht in dieser Zusammenfassung enthalten. Eine ausführliche Darstellung der Ergebnisse finden Sie auf den am Ende dieser Zusammenfassung aufgeführten Websites.

Die Ergebnisse der Teilnehmer, die eine Behandlung mit Brexu-cel erhielten, sind unten aufgeführt.

Bei wie vielen Teilnehmern traten dosislimitierende Toxizitäten (DLT) bei einer höheren Dosis von Brexu-cel auf?

Die Forscher überwachten die ersten 3 Teilnehmer mit r/r ALL in Kohorte 1 engmaschig auf DLT in Phase 1. DLT waren Nebenwirkungen im Zusammenhang mit Brexu-cel, die innerhalb der ersten 28 Tage nach Erhalt der Behandlung durch die Teilnehmer auftraten.

Keiner der Teilnehmer hatte DLT nach Erhalt von Brexu-cel in einer Dosis von 2 Millionen CAR-T-Zellen pro kg Körpergewicht.

Der Sponsor testete eine niedrigere Dosis von Brexu-cel, die 1 Million CAR-T-Zellen enthielt, und fand es für Teilnehmer in Phase 2 sicherer.

Wie viele Teilnehmer sprachen auf die Behandlung mit Brexu-cel an?

Die Forscher führten Blutuntersuchungen, Knochenmarkuntersuchungen und Scans durch, um festzustellen, ob die ausgewählte Dosis von 1 Million CAR-T-Zellen von Brexu-cel den Teilnehmern in Phase 2 hilft. Die Forscher definierten ein Ansprechen als **vollständige Remission, mit oder ohne normales Blutbild** oder **partielle Remission**.



Vollständige Remission bedeutet, dass nach der Behandlung keine Anzeichen von Krebs festgestellt wurden. **Partielle Remission** bedeutet, dass der Krebs nach der Behandlung kleiner oder weniger schwer wurde, aber nicht vollständig verschwunden ist.

Die Forscher untersuchten, wie viele Teilnehmer mit r/r ALL eine vollständige Remission erreichten und wie viele Teilnehmer mit r/r NHL eine vollständige oder partielle Remission erreichten.

Die folgenden Grafiken zeigen, wie viele Teilnehmer auf die Behandlung mit Brexu-cel angesprochen haben.



Mehr als die Hälfte der Teilnehmer mit r/r ALL erreichte eine vollständige Remission. Bei Teilnehmern mit r/r NHL zeigten einige ein starkes und langanhaltendes Ansprechen, andere sprachen nicht gut darauf an und ihre Krankheit verschlechterte sich.

Welche Nebenwirkungen traten bei den Teilnehmern während der Prüfung auf?

Unerwünschte medizinische Ereignisse können bei den Teilnehmern auftreten, wenn sie ein Prüfpräparat anwenden. In dieser Zusammenfassung werden „**Nebenwirkungen**“ als unerwünschte medizinische Ereignisse definiert, die nach Ansicht der Prüfarzte durch das Prüfpräparat Brexu-cel verursacht worden sein könnten.



Eine Nebenwirkung gilt als „**schwerwiegend**“, wenn sie:

- zum Tod führt,
- lebensbedrohlich ist,
- vom Prüfarzt als medizinisch bedeutend eingestuft wird,
- anhaltende Probleme verursacht,
- eine Versorgung im Krankenhaus erfordert,
- einen Geburtsfehler verursacht.

In der Regel werden die Ergebnisse mehrerer Prüfungen benötigt, um zu entscheiden, ob ein Prüfpräparat tatsächlich eine Nebenwirkung verursacht.

In der folgenden Tabelle sehen Sie, bei wie vielen Teilnehmern während der Prüfung Nebenwirkungen auftraten.

Nebenwirkungen insgesamt					
	Phase 1 (Teilnehmer mit r/r ALL)			Phase 2	
	Kohorte 1	Kohorte 2	Kohorte 3	r/r ALL-Kohorte	r/r NHL-Kohorte
	4 Teilnehmer	11 Teilnehmer	9 Teilnehmer	41 Teilnehmer	16 Teilnehmer
	Insgesamt				
	81 Teilnehmer				
	Anzahl der Teilnehmer (%)				
Bei wie vielen Teilnehmern traten irgendwelche Nebenwirkungen auf?	4 (100 %)	10 (91 %)	9 (100 %)	41 (100 %)	12 (75 %)
Bei wie vielen Teilnehmern traten schwerwiegende Nebenwirkungen auf?	4 (100 %)	6 (55 %)	4 (44 %)	28 (68 %)	7 (44 %)
	76 (94 %)				
	49 (60 %)				

Ein Teilnehmer in der r/r ALL-Kohorte der Phase 2 verstarb aufgrund einer Ansammlung von zusätzlicher Flüssigkeit im Gehirn, die eine Hirnschwellung (Hirnödem) verursachte.

Welche schwerwiegenden Nebenwirkungen traten auf?

In der folgenden Tabelle sehen Sie die schwerwiegenden Nebenwirkungen, die bei **mindestens 6 %** aller Prüfungsteilnehmer auftraten.

Schwerwiegende Nebenwirkungen						
	Phase 1 (Teilnehmer mit r/r ALL)			Phase 2		Insgesamt 81 Teilnehmer
	Kohorte 1	Kohorte 2	Kohorte 3	r/r ALL-Kohorte	r/r NHL-Kohorte	
	4 Teilnehmer	11 Teilnehmer	9 Teilnehmer	41 Teilnehmer	16 Teilnehmer	
	Anzahl der Teilnehmer (%)					
Fieber (Pyrexie)	1 (25 %)	4 (36 %)	4 (44 %)	9 (22 %)	2 (13 %)	20 (25 %)
Niedriger Blutdruck (Hypotonie)	3 (75 %)	5 (45 %)	2 (22 %)	9 (22 %)	0	19 (23 %)
Schneller Herzschlag (Tachykardie)	0	2 (18 %)	4 (44 %)	4 (10 %)	0	10 (12 %)
Ein Zustand, bei dem eine Person verwirrt ist und eine verminderte Aufmerksamkeit oder Wachheit als gewöhnlich aufweist (Verwirrheitszustand)	0	3 (27 %)	0	3 (7 %)	2 (13 %)	8 (10 %)
Eine Erkrankung des Gehirns, die sich erheblich auf das Denken und Handeln einer Person auswirkt (Enzephalopathie)	1 (25 %)	1 (9 %)	2 (22 %)	3 (7 %)	1 (6 %)	8 (10 %)
Kopfschmerzen	0	2 (18 %)	2 (22 %)	2 (5 %)	1 (6 %)	7 (9 %)
Eine Erkrankung, bei der nicht genügend Sauerstoff in das Körpergewebe gelangt (Hypoxie)	1 (25 %)	0	0	5 (12 %)	1 (6 %)	7 (9 %)
Eine Erkrankung, die es einer Person aufgrund einer Schädigung des Gehirns erschwert, zu sprechen, andere zu verstehen, zu lesen oder zu schreiben (Aphasie)	0	2 (18 %)	0	3 (7 %)	1 (6 %)	6 (7 %)
Eine plötzliche Veränderung der Funktionsweise des Gehirns, die zu Zittern, Steifheit, ungewöhnlichen Bewegungen oder Veränderungen des Bewusstseins führen kann (Krampfanfall)	1 (25 %)	0	0	4 (10 %)	1 (6 %)	6 (7 %)
Eine Ansammlung von zusätzlicher Flüssigkeit im Gehirn, die dazu führt, dass das Gehirn anschwillt (Hirnödem)	0	1 (9 %)	0	4 (10 %)	0	5 (6 %)
Fieber mit einer niedrigen Anzahl weißer Blutkörperchen, die als „Neutrophile“ bezeichnet werden (febrile Neutropenie)	0	1 (9 %)	0	2 (5 %)	2 (13 %)	5 (6 %)

Welche nicht schwerwiegenden Nebenwirkungen traten auf?

In der folgenden Tabelle sehen Sie die häufigsten nicht schwerwiegenden Nebenwirkungen, die bei **mindestens 30 %** aller Teilnehmer auftraten. Diese Nebenwirkungen waren von ihrer Natur her nicht schwerwiegend und entsprachen nicht der Definition von „schwerwiegenden Nebenwirkungen“, die in dieser Zusammenfassung erwähnt wird.

In der folgenden Tabelle sehen Sie, bei wie vielen Teilnehmern während der Prüfung nicht schwerwiegende Nebenwirkungen auftraten.

Nicht schwerwiegende Nebenwirkungen						
	Phase 1 (Teilnehmer mit r/r ALL)			Phase 2		Insgesamt
	Kohorte 1	Kohorte 2	Kohorte 3	r/r ALL-Kohorte	r/r NHL-Kohorte	
	4	11	9	41	16	
	Teilnehmer	Teilnehmer	Teilnehmer	Teilnehmer	Teilnehmer	
	Anzahl der Teilnehmer (%)					
Fieber (Pyrexie)	3 (75 %)	5 (45 %)	3 (33 %)	31 (76 %)	7 (44 %)	49 (60 %)
Kopfschmerzen	2 (50 %)	1 (9 %)	3 (33 %)	17 (41 %)	5 (31 %)	28 (35 %)
Niedrige Anzahl roter Blutkörperchen (Anämie)	0	2 (18 %)	5 (56 %)	14 (34 %)	5 (31 %)	26 (32 %)
Niedriger Blutdruck (Hypotonie)	2 (50 %)	4 (36 %)	2 (22 %)	13 (32 %)	3 (19 %)	24 (30 %)



Was konnten die Forscher aus der Prüfung lernen?

Die Forscher erfuhren mehr über die Sicherheit von Brexu-cel und darüber, wie es bei Kindern, Jugendlichen und jungen Erwachsenen mit r/r ALL oder r/r NHL wirkt.

Die Ergebnisse mehrerer Prüfungen werden benötigt, um zu entscheiden, welche Behandlungen wirksam und sicher sind. Diese Zusammenfassung enthält nur die wichtigsten Ergebnisse dieser einen Prüfung. Andere Prüfungen können neue Informationen oder andere Ergebnisse liefern.

Gilead Sciences plant nicht, weitere klinische Prüfungen mit Brexu-cel durchzuführen.



Wo kann ich mehr über diese Prüfung erfahren?

Weitere Informationen über diese Prüfung finden Sie auf den unten aufgeführten Websites.

Organisation (Website)	Prüfungskennung
Europäische Arzneimittel-Agentur www.clinicaltrialsregister.eu	EU CTIS number: 2023-509440-97-00
Nationale Gesundheitsinstitute (NIH) der USA www.clinicaltrials.gov	ClinicalTrials.gov-Nummer: NCT02625480
Gilead-Website www.gileadclinicaltrials.com	KTE-C19-104

Bitte beachten Sie, dass die Informationen auf diesen Websites möglicherweise auf andere Weise dargestellt sind als in dieser Zusammenfassung.

Vollständiger Titel der Prüfung: Eine multizentrische Phase-I/II-Studie zur Beurteilung der Sicherheit und Wirksamkeit von KTE-X19 bei pädiatrischen und jugendlichen Patienten mit rezidivierender/refraktärer akuter lymphoblastischer B-Vorläuferzell-Leukämie oder rezidivierendem/refraktärem B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom

Wenn Sie mehr über klinische Prüfungen im Allgemeinen erfahren möchten, besuchen Sie bitte diese [Seite](#) auf der Website www.clinicaltrials.gov.

Kite, ein Gilead-Unternehmen

2400 Broadway, Santa Monica, CA 90404, USA

E-Mail: medinfo@kitepharma.com



Teilnehmer an klinischen Prüfungen gehören zu einer großen Gemeinschaft von Menschen, die weltweit an klinischen Forschungsprojekten teilnehmen. Sie helfen Forschern, wichtige Gesundheitsfragen zu beantworten und medizinische Behandlungen für Patienten zu finden.



GILEAD

