

The background features several large, colorful puzzle pieces in shades of blue, yellow, and green. Interspersed among these are two circular icons with dashed outlines: one of a boy's face and one of a girl's face with blonde pigtails. At the bottom, a stylized globe is shown in a semi-circle, with a dashed white line arching over it.

# JIGSAW 117

Informe de resultados del estudio para participantes

# ¡GRACIAS

## por participar en el estudio JIGSAW 117 (WA28117)!

Gracias a ti, ahora sabemos más sobre cómo funciona el medicamento del estudio en niños con artritis idiopática juvenil.

### Sobre este informe:

Este informe se ha escrito para ayudarte a entender un poco mejor el estudio JIGSAW 117 y qué hemos aprendido de los resultados.

Como alguna de las palabras usadas para describir los resultados pueden ser difíciles de entender, hemos incluido algunas definiciones en el glosario al final de este informe para explicarlas más claramente.

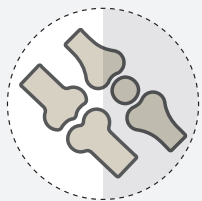
La información se basa en resultados recogidos al final del estudio en mayo de 2016. Ten en cuenta que los resultados mostrados en este informe son un resumen de todos los niños del estudio JIGSAW 117 y podrían no reflejar todos los distintos resultados.

## ¿Para qué era el estudio JIGSAW 117?

El objetivo del estudio era aprender más sobre el medicamento **tocilizumab (TCZ)** cuando se usa para tratar un tipo de artritis infantil llamada **artritis idiopática juvenil (AIJ)**.

Todos los que participaron en el estudio tenían inflamación en cinco o más articulaciones. Esto se denomina **artritis idiopática juvenil de curso poliarticular**, normalmente abreviada como **AIJp** (o a veces AIJcp).

### AIJp, veamos que significa cada cosa...



**Poliarticular**  
Que afecta a muchas articulaciones



**Juvenil**  
Se produce en niños



**Idiopático**  
No sabemos qué lo causa



**Artritis**  
Inflamación o sensibilidad en las articulaciones (como nudillos, muñecas, rodillas, caderas) que a menudo causa dolor y discapacidad

## Sobre el medicamento del estudio: tocilizumab (TCZ)

TCZ es un medicamento que ya se utiliza para tratar algunos tipos de artritis en adultos y niños. Antes de este estudio, TCZ solamente se podía administrar a niños mediante un tubo conectado a una vena (por vía intravenosa): esto tiene que hacerse en el hospital y se necesita alrededor de 1 hora.

En este estudio queríamos averiguar si TCZ se podía administrar a niños como inyección mediante una aguja insertada justo bajo la piel (por vía subcutánea), para que su administración fuera más sencilla en casa. También queríamos averiguar cuál sería la mejor posología (dosis) para tratar la AIJp cuando se administra mediante inyección subcutánea.

Algunos de los niños que participaron en este estudio ya estaban siendo tratados con TCZ por vía intravenosa y su artritis estaba bajo control. El resto de los niños que participó nunca habían sido tratados con TCZ y su artritis estaba mal controlada con otros tratamientos.

### ¿Qué sabíamos antes de este estudio?

#### Sabíamos



La posología de **inyección subcutánea** para adultos



La posología **intravenosa** para niños

#### Teníamos que averiguar



La posología de **inyección subcutánea** para niños

### ¿Cuál es la “mejor posología” y por qué es importante?

Al administrar cualquier medicamento, tu médico te dirá qué cantidad administrar y con qué frecuencia: esto se denomina **posología (dosis)**

Los estudios como JIGSAW son importantes porque informan a los médicos de cómo funciona el medicamento en el organismo y de las posologías más seguras y eficaces

Tu médico decidirá cuál es la mejor posología para ti en función de un número de cosas, como:

- Lo sano/a que estás ahora
- Qué enfermedades has tenido anteriormente
- Qué medicamentos estás tomando ahora o solías tomar
- Cuánto pesas
- Cómo respondes al medicamento

## ¿Qué analizamos?

En este estudio observamos la **farmacocinética (FC)** y la **farmacodinámica (FD)** de TCZ.

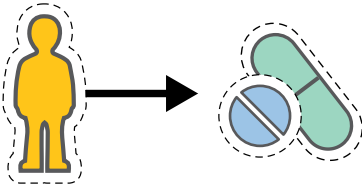
También observamos si tu artritis mejoró después de la administración del medicamento.

La seguridad también era importante para nosotros. Por ello, registramos los cambios en tu salud después de la administración del medicamento. Estos cambios se denominan “efectos secundarios”.

## ¿Qué son la FC y la FD?

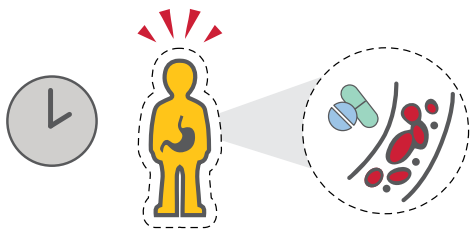
### Farmacocinética (FC)

**Definición:** lo que el organismo hace al medicamento



**Tipos de cosas que observamos:**

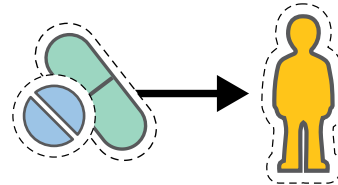
¿Cuánto tarda el medicamento en llegar a donde necesita estar? ¿Cuánto medicamento llega ahí?  
¿Cuánto tiempo se queda en el organismo?



**Ejemplo:** Cuando tomas un medicamento para el dolor de cabeza, pasa un tiempo hasta que el medicamento empieza a funcionar. Esto se debe a que tu organismo necesita llevar el medicamento del estómago a la sangre, para que esta pueda llevarlo a donde duele. Después de un tiempo, el medicamento deja de funcionar porque tu organismo ya lo ha utilizado del todo

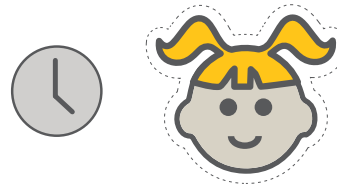
### Farmacodinámica (FD)

**Definición:** lo que el medicamento hace al organismo



**Tipos de cosas que observamos:**

¿Cómo reacciona el organismo después de recibir el medicamento?

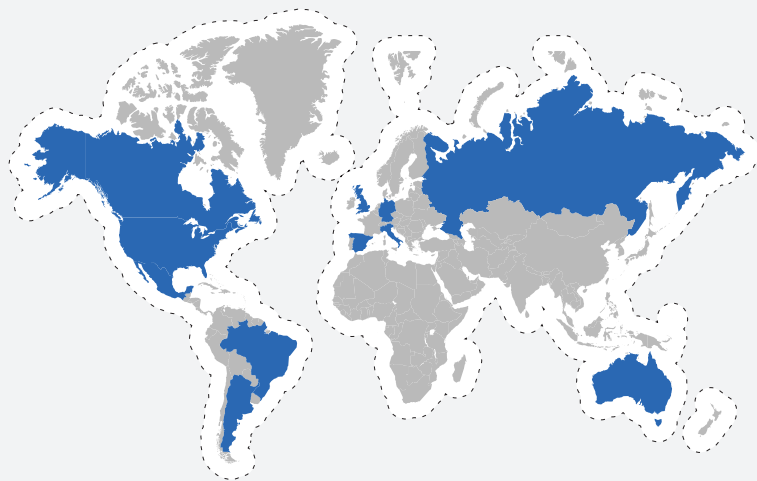


**Ejemplo:** Cuando tomas un medicamento para el dolor de cabeza, el medicamento bloquea cómo tu organismo siente dolor, lo que ayuda a librarse del dolor de cabeza

## ¿Cómo realizamos el estudio?

### ¿Cuántos niños participaron de cada país?

EE. UU.	R. U.	España	Alemania
<b>11</b>	<b>9</b>	<b>7</b>	<b>6</b>
Canadá	Argentina	Brasil	México
<b>4</b>	<b>4</b>	<b>4</b>	<b>2</b>
Italia	Rusia	Australia	
<b>2</b>	<b>2</b>	<b>1</b>	



### ¿Quién participó en el estudio?



**52 niños** con diagnóstico de AIJp (de 1 a 17 años de edad)

**31 %**



16 de los 52 niños eran de sexo masculino

**69 %**



36 de los 52 niños eran de sexo femenino



Niños que no respondieron bien al tratamiento con methotrexate (MTX)\*

**71 %**



37 niños nunca habían sido tratados con TCZ y tenían AIJp activa

**29 %**



15 niños estaban siendo tratados con TCZ por vía intravenosa y tenían AIJp bien controlada

\* MTX es un medicamento común usado para el tratamiento de la artritis

## ¿Cómo os dividimos en grupos del estudio?

A todos los que participaron en el estudio se les puso en uno de dos grupos. Esto se basó en tu peso corporal: si pesabas **menos de 30 kg** o **más de 30 kg**.

## ¿Cómo hicimos esto?

La posología (dosis) de los medicamentos cambia a veces en función del peso corporal de una persona, para asegurarse de que todo el mundo tenga la misma cantidad de medicamento en la sangre y reciba el mismo efecto.

- Sabemos por estudios anteriores con TCZ que los niños que **pesan menos de 30 kg** normalmente necesitan menos TCZ que los que **pesan más de 30 kg**
- Por eso dividimos a los niños que participaron en JIGSAW 117 en dos grupos y les dimos una posología de TCZ en función de su peso

### Niños que pesaban menos de 30 kg



**27 niños**



**162 mg de TCZ  
cada 3 semanas**

### Niños que pesaban al menos 30 kg



**25 niños**



**162 mg de TCZ  
cada 2 semanas**

## ¿Cuánto duró el estudio?



El estudio duró aproximadamente **1 año**



Durante ese año, tú acudiste a la clínica unas **15 veces**

## ¿Qué tipos de pruebas realizamos?

Tomamos una muestra de sangre en cada visita a la clínica para poder medir periódicamente la cantidad de TCZ en la sangre (FC), y cómo respondían al medicamento tu organismo y la artritis (FD).

También medimos sustancias específicas de la sangre llamadas **biomarcadores** para entender mejor cómo funcionaba el medicamento en tu organismo (FD).



Otra forma de ayudarnos a medir si tu artritis estaba mejorando fue pedirte que rellenaras una encuesta llamada *Cuestionario de evaluación de salud infantil (CHAQ-DI)*. Las respuestas nos ayudaron a entender cómo te encontrabas y si era difícil para ti hacer actividades cotidianas



También calculamos tu *puntuación de actividad de enfermedad artritis juvenil (JADAS-71)*, para lo que usamos los resultados que recogimos durante el estudio

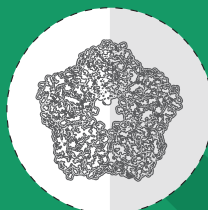


Por último, tu médico comprobó periódicamente si tenías signos de artritis, como articulaciones inflamadas y doloridas

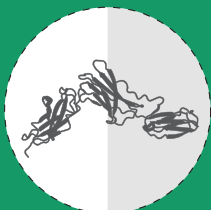
## ¿Qué biomarcadores de farmacodinámica (FD) buscamos?



**IL-6**  
interleucina-6



**PCR**  
proteína C-reactiva



**sIL-6R**  
receptor soluble  
de interleucina-6



**VSG**  
velocidad de  
sedimentación  
globular

## ¿Qué aprendimos?

### ¿Encontramos la mejor posología para inyección subcutánea de TCZ?

**Sí, la encontramos.** Usando los análisis de FC y FD, averiguamos las mejores posologías de inyección de TCZ para niños con AIJp en los dos grupos de peso corporal. Estas eran:

Niños que pesaban  
menos de 30 kg

Una única  
inyección de  
TCZ cada  
3 semanas



Niños que pesaban  
al menos 30 kg

Una única  
inyección de  
TCZ cada  
2 semanas



### ¿Mejóro la artritis después del tratamiento?

En función de las dos puntuaciones de pruebas que usamos (*CHAQ-DI* y *JADAS-71*) y los resultados de los análisis de biomarcadores que medimos, la mayoría de los niños se sintió mejor después de la administración del medicamento durante 1 año. Los resultados mostraron que **la enfermedad se volvió inactiva** en el 70 % de los niños del estudio.

Este estudio confirmó que TCZ puede ayudar a tratar a niños con artritis infantil con las dosis administradas mediante inyección en JIGSAW 117.

Niños que pesaban menos de 30 kg

**8/10** niños tenían  
enfermedad inactiva



Niños que pesaban al menos 30 kg

**6/10** niños tenían  
enfermedad inactiva



### ¿Qué significa “enfermedad inactiva”?

Si los signos y síntomas de tu artritis (como inflamación o dolor articular) desaparecen, tu médico podría decirte que tu “enfermedad está inactiva”



## ¿Hubo algún efecto secundario?

Sí, hubo algunos. La mayoría de los niños del estudio tuvo una pequeña reacción cuando se les administró el medicamento mediante inyección subcutánea. Ninguna de estas reacciones fue lo suficientemente grave para dejar el estudio.

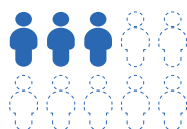
Los efectos secundarios fueron como los observados cuando se administra TCZ por vía intravenosa, o cuando otros medicamentos se administran mediante inyección subcutánea. No vimos ningún efecto secundario que no esperásemos en este estudio, por lo que no nos preocupa la seguridad de TCZ.

9/10



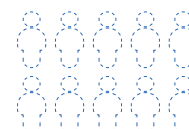
niños tuvieron un efecto secundario, pero la mayoría de ellos no fue grave. Los efectos secundarios más frecuentes fueron infecciones.

3/10



niños tuvieron una reacción en el lugar donde se pinchó la aguja (por ejemplo, dolor, inflamación, hematoma, enrojecimiento o picor)

0/10



niños dejaron de participar en el estudio debido a los efectos secundarios que experimentaron

## En resumen

### ¿Cuáles fueron los resultados clave?



Averiguamos cuál es la mejor posología (dosis) para inyección subcutánea de TCZ para niños con AIJp.



A la mayoría de los niños del estudio le pareció que la artritis mejoraba después de la administración del medicamento mediante inyección subcutánea durante 1 año.



Los efectos secundarios fueron similares a los observados con TCZ por vía intravenosa o cuando se administran otros medicamentos mediante inyección subcutánea.

# GRACIAS

**Como participante del estudio JIGSAW 117, eres parte de un grupo muy importante de personas de todo el mundo que está ayudando a hacer avanzar la investigación médica para tratar la artritis en niños.**

Os agradecemos mucho a ti y a tu familia que hayáis participado en este estudio. Gracias por dedicar de forma generosa vuestro tiempo para acudir a las visitas a la clínica y realizar todas las pruebas.

## **¿Dónde puedo encontrar más información?**

Puedes encontrar más información sobre este estudio en los sitios web mencionados a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01904279>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2012-003486-18/results>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/jia/a-study-of-subcutaneously--sc--administered-tocilizumab-80633.html>

## **Si tienes más preguntas después de leer este informe:**

- Visita la plataforma ForPatients y rellena el formulario de contacto:  
<https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/jia/a-study-of-subcutaneously--sc--administered-tocilizumab-80633.html>
- Contacta con un representante de la oficina de Roche de tu área.

## **Si participaste en este estudio y tienes preguntas sobre los resultados:**

- Habla con el médico o personal del estudio en el hospital o clínica del estudio.

## **Si tienes preguntas sobre tu propio tratamiento:**

- Habla con el médico responsable de tu tratamiento.

## Glosario de palabras clave

### **Artritis**

Inflamación o sensibilidad en las articulaciones (como nudillos, rodillas, codos, caderas) que a menudo causa dolor.

### **Biomarcador**

Sustancia específica del organismo que se puede usar para medir la presencia y progreso de una afección. En este estudio, medimos los biomarcadores de farmacodinámica (FD) para la artritis infantil.

### **Efecto secundario**

Cualquier cambio de salud que pueda estar causado por tomar un medicamento.

### **Enfermedad inactiva**

Cuando los signos o síntomas de una enfermedad (como la artritis) desaparecen, el médico puede decir que la enfermedad está inactiva.

### **Farmacocinética**

Lo que el organismo hace al medicamento. En otras palabras, ¿cuánto tarda el medicamento en llegar a donde necesita estar? ¿Cuánto medicamento llega ahí? ¿Cuánto tiempo permanece el medicamento en el organismo?

### **Farmacodinámica**

Lo que el medicamento hace al organismo. En otras palabras, cómo reacciona el organismo después de recibir el medicamento.

### **Idiopático**

Se desconoce la causa exacta.

### **Intravenoso**

Un medicamento que se administra directamente en vena. Esto se puede hacer mediante una inyección o mediante una infusión, y normalmente se hace en el hospital.

### **Inyección subcutánea**

Cuando un medicamento se administra mediante aguja en la capa de grasa justo debajo de la piel. En este estudio, TCZ se administró como una inyección subcutánea.

### **Juvenil**

Que se produce en niños.

### **Posología**

Qué cantidad (dosis) de medicamento se toma y con qué frecuencia, según indicación del médico.

