

Resumen de los resultados del ensayo

Un estudio para determinar si un medicamento llamado tocilizumab era seguro y funcionaba cuando se administraba durante un largo período de tiempo para tratar a niños con artritis idiopática juvenil.

Consultar el título completo del estudio al final del resumen.

Acerca de este resumen

Este es un resumen de los resultados de un ensayo clínico (llamado «estudio» en este documento) escrito para:

- Los menores que participaron en el estudio y sus familias.
- El público en general.

Contenido del resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quién participó en este estudio?

El estudio comenzó en julio de 2014 y terminó en noviembre de 2021. Este resumen se redactó tras la conclusión del estudio.

Un solo estudio no puede decirnos si un medicamento funciona y lo seguro que es. Se necesita el trabajo de muchas personas en numerosos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe basar sus decisiones en este resumen: antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento, hable siempre con su médico.**

-
3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?
 4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?
 5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?
 6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?
 7. ¿Hay otros estudios planeados?
 8. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Glosario

- pJIA = artritis idiopática juvenil de curso poliarticular
- sJIA = artritis idiopática juvenil sistémica

Nuestro agradecimiento a los menores que participaron en este estudio y a sus familias

Las personas que participaron han ayudado a los investigadores a responder a importantes preguntas sobre cómo funciona tocilizumab en menores con artritis idiopática juvenil.

Información clave sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio y quién participó?

- Este estudio se realizó para averiguar lo bien que funcionaba un medicamento llamado «tocilizumab» (el medicamento del estudio) en menores con artritis idiopática y si era seguro durante un periodo largo de tiempo.
- Este estudio incluyó a 44 menores con pJIA y 38 con sJIA en 12 países.

¿Cuáles fueron los resultados?

- Para la mayoría de los menores del estudio, la artritis estuvo bien controlada mientras tomaban tocilizumab mediante una inyección bajo la piel (subcutánea).
- Los eventos adversos que sufrieron los menores durante el estudio (que pueden o no estar relacionados con tocilizumab) fueron similares a los observados en otros estudios de tocilizumab y similares con el uso de tocilizumab tanto a corto como a largo plazo.
- Durante este estudio, 1 menor con pJIA y 1 con sJIA tuvieron al menos un efecto secundario grave que se cree que está relacionado con el medicamento del estudio.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se llevó a cabo este estudio?

La artritis idiopática juvenil (abreviada como AIJ) es un tipo de artritis en los menores que causa inflamación o sensibilidad en las articulaciones (como nudillos, muñecas, rodillas y caderas) que a menudo causa dolor y discapacidad.

Todos los menores de este estudio tenían:

- JIA de curso poliarticular (abreviado como pJIA o, a veces, pcJIA): una artritis en menores que incluye inflamación en 5 o más articulaciones.
-
- JIA sistémica (abreviado como sJIA): una afección grave en la que se produce inflamación en las articulaciones pero que también afecta a todo el cuerpo. Los síntomas más comunes son fiebre, erupción cutánea y dolor en las articulaciones. Los niños que tienen sJIA más grave pueden tener daños en las articulaciones o problemas para moverse con normalidad.

En el pasado, el medicamento del estudio llamado «tocilizumab» solo podía administrarse a menores a través de un tubo conectado a una vena (por vía intravenosa).

En 2 estudios denominados «JIGSAW 117» y «JIGSAW 118», los investigadores trataron a menores con pJIA y sJIA con tocilizumab mediante una inyección con aguja justo debajo de la piel (por vía subcutánea) durante un máximo de 1 año para averiguar cuánto tocilizumab debían tomar y con qué frecuencia tomarlo: esto se conoce como determinar la dosis.

En este estudio llamado «**extensión a largo plazo JIGSAW**», algunos de los menores que participaron en el estudio JIGSAW 117 o JIGSAW 118 continuaron tomando tocilizumab subcutáneo durante más tiempo.

¿Cuál era el medicamento del estudio?

Tocilizumab (conocido por sus nombres comerciales, Actemra® o RoActemra®) se usa para tratar algunos tipos de artritis en adultos y menores.

Se pronuncia tal cual se escribe.

En la mayoría de menores con pJIA y sJIA, hay demasiadas proteínas en el sistema inmunitario llamadas «citoquinas». Tocilizumab actúa bloqueando la acción de una de estas citoquinas denominada «interleucina 6» (también denominada «IL-6»). Esto puede ayudar a prevenir los síntomas de la artritis.

¿Qué pretendían averiguar los investigadores?

Los investigadores querían saber lo bien que funcionaba el tocilizumab en los menores con pJIA y sJIA y si era seguro durante mucho tiempo.

Las preguntas principales que los investigadores querían responder era:

1. ¿Se controlaban bien los signos y síntomas de la artritis con el tratamiento? Esto se midió con una herramienta llamada Puntuación de actividad de la enfermedad de artritis juvenil (también conocida como «JADAS-71»).
2. ¿Cuántos menores sufrieron cambios de salud (también llamados «eventos adversos») durante el estudio que pueden o no estar relacionados con el tratamiento?

Otras preguntas que los investigadores querían responder incluían:

3. ¿Las actividades diarias de los menores estaban limitadas por su artritis? Esto se midió mediante una encuesta llamada «Cuestionario de evaluación de la salud infantil: índice de discapacidad» (también conocido como «CHAQ-DI»).
4. ¿A cuántos menores les desaparecieron los signos y síntomas de la artritis, como dolor o inflamación de las articulaciones (llamado «enfermedad inactiva») y cuántos menores tuvieron la enfermedad inactiva durante al menos 6 meses seguidos (llamado «remisión clínica»)?

¿De qué tipo de estudio se trataba?

Este fue un **estudio de «Fase 1»**, lo que significa que fue uno de los primeros estudios de tocilizumab subcutáneo en menores con pJIA y sJIA .

Este estudio fue de **«un solo brazo»**. Esto significa que todos los participantes de este estudio fueron tratados con tocilizumab.

Este estudio fue **«en abierto»**. Esto significa que los menores que participaron en el estudio, sus padres y los médicos del estudio sabían qué medicamento estaban tomando los menores.

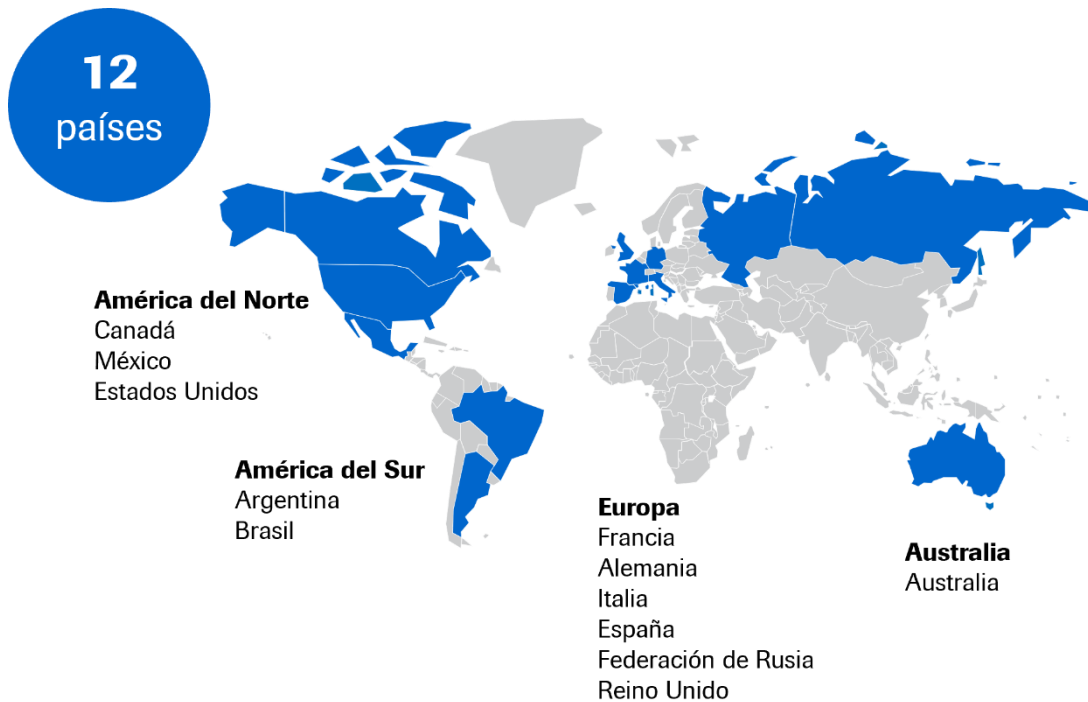
Este estudio fue un **«estudio de extensión a largo plazo»**. Esto significa que los menores que habían participado en un estudio anterior de tocilizumab siguieron tomando tocilizumab tras la finalización de ese estudio.

¿Cuándo y dónde tuvo lugar el estudio?

El estudio comenzó en julio de 2014 y terminó en noviembre de 2021. Este resumen se redactó tras la conclusión del estudio.

El estudio se realizó en 31 centros de estudio de 12 países de América del Norte y del Sur, Europa y Australia.

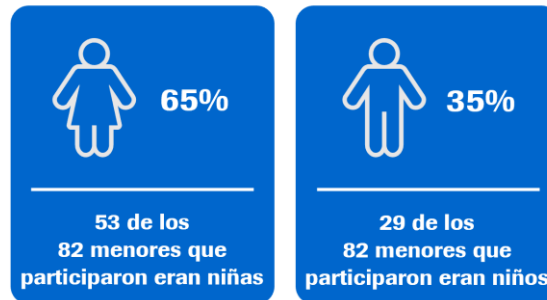
Este mapa muestra los países donde se realizó el estudio.



2. ¿Quién participó en este estudio?

En este estudio participaron 44 menores con pJIA y 38 niños con sJIA (un total de 82 menores).

Los menores que participaron en el estudio tenían entre 2 y 18 años. 53 de los 82 menores (65%) eran mujeres y 29 de los 82 (35%) eran varones.



Grupo de edad: de 2 a 18 años

Los menores podían participar en el estudio si:

- Tenían pJIA o sJIA y completaron el estudio JIGSAW 117 o JIGSAW 118.
- Su artritis se controló adecuadamente, lo que significa que sus síntomas de artritis se redujeron con el uso de tocilizumab subcutáneo.

Los menores no podían participar en el estudio si:

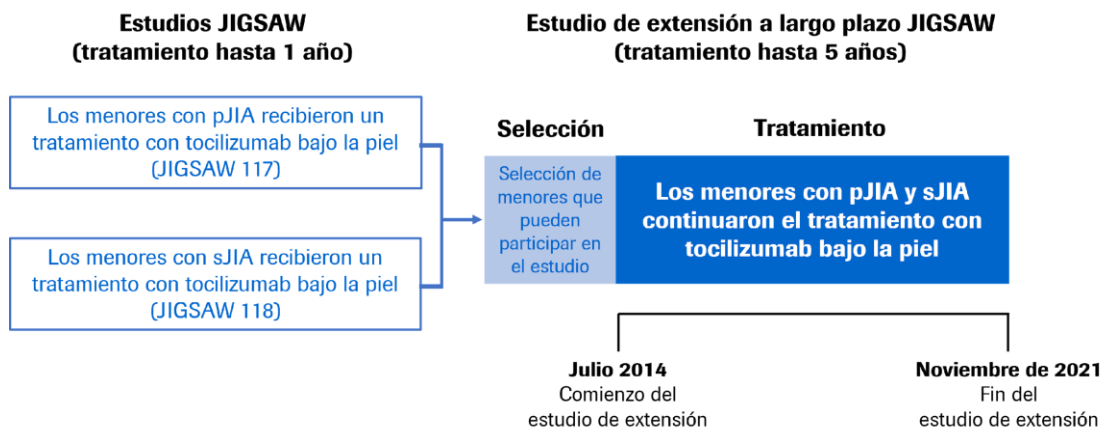
- Su artritis no mejoró con el uso de tocilizumab en el estudio JIGSAW.
- Se les hicieron pruebas de laboratorio que mostraron niveles bajos de ciertas células sanguíneas o que sus riñones o hígado no estaban funcionando bien.
- Tenían cualquier otro problema de salud grave y no controlado.

3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?

Los menores que participaron en los estudios JIGSAW 117 y JIGSAW 118 pudieron seguir tomando tocilizumab subcutáneo en este estudio (extensión a largo plazo de JIGSAW).

Los investigadores observaron lo bien que funcionó el tocilizumab durante un máximo de 3 años y lo seguro que fue durante un máximo de 5 años.

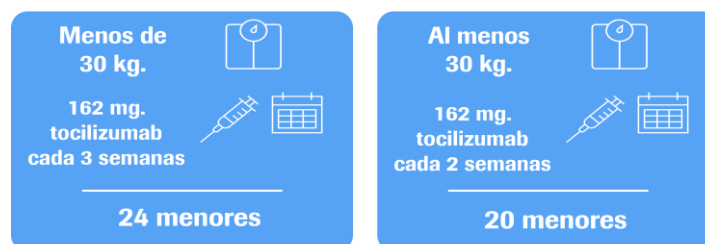
Esta imagen muestra lo que sucedió durante el estudio.



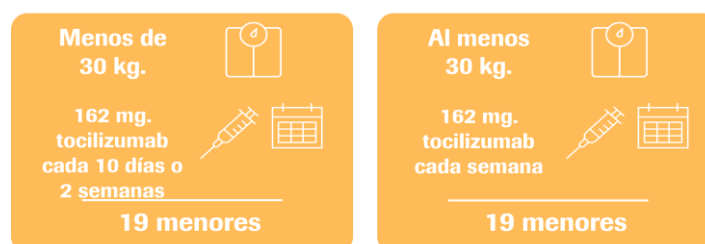
La frecuencia con la que se administró tocilizumab a los menores dependía de si tenían pJIA o sJIA y de su peso: menos de 30 kg o más de 30 kg.

Esta imagen muestra la frecuencia con que se administró tocilizumab a los menores.

Menores con pJIA



Menores con sJIA



Para algunos menores, la frecuencia con la que recibieron tocilizumab cambió a medida que su peso cambiaba con el tiempo.

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Pregunta 1: ¿Se controlaban bien los signos y síntomas de la artritis con el tratamiento? Esto se midió con una herramienta llamada Puntuación de actividad de la enfermedad de artritis juvenil (también conocida como «JADAS-71»).

La puntuación JADAS-71 combina medidas de artritis, incluida una evaluación de los síntomas de la artritis por parte del investigador, el estado del menor, la cantidad de articulaciones con artritis activa y un análisis de sangre para detectar inflamación.

Una puntuación más baja significa que la artritis está mejor controlada.

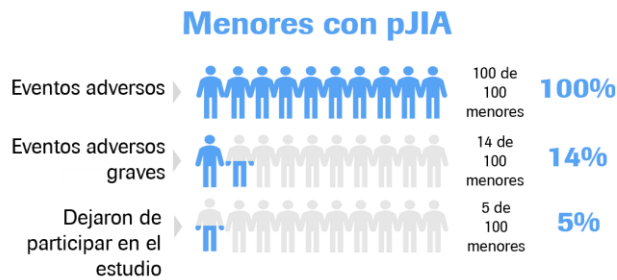
- Durante este estudio, la mediana (un tipo de promedio) de la puntuación JADAS-71 se mantuvo baja para los menores con pJIA y los menores con sJIA durante un máximo de 3 años.
 - Esto significa que los síntomas de artritis de la mayoría de los menores continuaron bien controlados cuando se les administró tocilizumab por vía subcutánea.

Pregunta 2: ¿Cuántos menores sufrieron cambios de salud (también llamados «eventos adversos») durante el estudio que pueden o no estar relacionados con el tratamiento?

Los investigadores observaron los eventos adversos durante un máximo de 5 años. Todos los menores que participaron tuvieron un evento adverso como dolor de cabeza durante el estudio que puede o no estar relacionado con tocilizumab:

- La mayoría de estos eventos adversos no fueron graves, lo que significa que no pusieron en peligro la vida y no requirieron atención hospitalaria.
- Los más comunes eran infecciones como un resfriado.
- 5 de cada 100 menores (5 %) con pJIA dejaron de participar en el estudio debido a un evento adverso.
- Ningún menor con sJIA dejó de participar en el estudio debido a un evento adverso.
- Los eventos adversos que tuvieron los menores durante el estudio fueron similares con el uso de tocilizumab tanto a corto como a largo plazo.

Esta imagen muestra el porcentaje de menores que tuvieron eventos adversos durante el estudio.



Los investigadores observaron algunos eventos adversos específicos que ocurrieron durante el estudio (que pueden o no estar relacionados con tocilizumab).

Esta imagen muestra el porcentaje de menores que tuvieron una reacción al tratamiento causada por una reacción exagerada del sistema inmunitario (también llamada «evento de hipersensibilidad») o una infección grave.



Pregunta 3: ¿Las actividades diarias de los menores estaban limitadas por su artritis? Esto se midió mediante una encuesta llamada «Cuestionario de evaluación de la salud infantil: índice de discapacidad» (también conocido como «CHAQ-DI»).

El CHAQ-DI es una encuesta que ayuda a los investigadores a comprender cómo se sentían los menores del estudio y si les resultaba difícil realizar las actividades diarias.

- Las respuestas a la encuesta mostraron que la artritis de los menores siguió estando bien controlada durante el estudio.
- La mayoría de los menores continuaron sin experimentar discapacidad o solo una discapacidad leve debido a su artritis.

Pregunta 4: ¿A cuántos menores les desaparecieron los signos y síntomas de la artritis, como dolor o inflamación de las articulaciones (llamado «enfermedad inactiva») y cuántos menores tuvieron la enfermedad inactiva durante al menos 6 meses seguidos (llamado «remisión clínica»)?

Al comienzo del estudio:

- 6 de cada 10 menores (60 %) con pJIA tenían enfermedad inactiva y 8 de cada 10 menores (80 %) con sJIA tenían enfermedad inactiva. El porcentaje de menores con enfermedad inactiva en los grupos pJIA y sJIA se mantuvo casi igual durante los 3 años del estudio.

Durante los 3 años del estudio:

- Entre el 40 % y el 50 % de los menores con pJIA tuvieron remisión clínica
- Alrededor del 70 % de los menores con sJIA tuvieron remisión clínica

Esta sección solo muestra los resultados clave de este estudio. Puede encontrar información sobre todos los demás resultados en los sitios web al final de este resumen (consulte la sección 8).

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

Los efectos secundarios, también llamados «reacciones adversas», son cambios en la salud (como mareos) que ocurren durante el estudio y se cree que están relacionados con el medicamento del estudio. En este estudio, los investigadores observaron los efectos secundarios durante un máximo de 5 años.

- Los efectos secundarios pueden ser de leves a muy graves y pueden ser diferentes de una persona a otra.
- No todos los menores del estudio tuvieron todos los efectos secundarios.
- Es importante ser consciente de que los efectos secundarios notificados aquí son únicamente de este estudio. Por lo tanto, los efectos secundarios que se muestran aquí pueden ser distintos a los observados en otros estudios, o a los enumerados en la hoja informativa del medicamento.
- Los efectos secundarios frecuentes y graves se enumeran en las secciones siguientes.

Efectos secundarios graves

Un efecto secundario se considera «grave» cuando es potencialmente mortal, requiere cuidados hospitalarios o causa problemas duraderos.

Durante este estudio, 1 menor con pJIA y 1 con sJIA tuvieron al menos un efecto secundario grave que se cree que está relacionado con el tocilizumab:

- El menor con pJIA tenía una infección pulmonar llamada «neumonía».
- El menor con sJIA tuvo un aumento en un resultado de laboratorio que muestra daño en el hígado.

Efectos secundarios más comunes

Durante este estudio, 66 de 100 menores (66 %) con pJIA y 63 de 100 (63 %) con sJIA tuvieron un efecto secundario que se cree que está relacionado con tocilizumab.

- No parece que los menores tuvieran más efectos secundarios después de tomar tocilizumab durante más tiempo.
- Los efectos secundarios más comunes experimentados por más de 10 de cada 100 menores (10 %) se muestran en la siguiente tabla. Algunos menores tuvieron más de un efecto secundario, lo que significa que están incluidos en más de una fila de la tabla.

Efectos secundarios más frecuentes notificados en este estudio	Menores con pJIA (44 menores en total)	Menores con sJIA (38 menores en total)
Cantidad baja de un tipo específico de glóbulo blanco llamado «neutrófilo»	16 % (7 de 44 menores)	13 % (5 de 38 menores)
Enrojecimiento en la piel en la zona en la que se aplicó la inyección	14% (6 de 44 menores)	0% (0 de 38 menores)
Hinchazón en la nariz y la garganta, que puede llamarse «nasofaringitis» y se conoce comúnmente como «resfriado»	11 % (5 de 44 menores)	8 % (3 de 38 menores)
Número bajo de glóbulos blancos (llamados «leucocitos»)	5% (2 de 44 menores)	11 % (4 de 38 menores)

Otros efectos secundarios

Puede encontrar más información sobre otros efectos secundarios (no mencionados en las secciones anteriores) en los sitios web que figuran al final de este resumen (ver la sección 8).

6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?

La información que se presenta aquí proviene de un estudio de 44 menores con pJIA y 38 con sJIA. Estos resultados ayudaron a los investigadores a aprender más sobre el tratamiento de JIA con tocilizumab.

Para la mayoría de los menores del estudio, la artritis estuvo bien controlada mientras se les administró tocilizumab por inyección subcutánea durante un máximo de 3 años.

Los eventos adversos que sufrieron los menores durante el estudio (que pueden o no estar relacionados con tocilizumab) fueron similares a los observados en otros estudios de tocilizumab y similares con el uso de tocilizumab tanto a corto como a largo plazo.

No existe ningún estudio del que se pueda saber todo sobre los riesgos y los beneficios de un medicamento. Se necesita el trabajo de muchas personas en numerosos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe basar sus decisiones en este resumen: antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento, hable siempre con su médico.**

7. ¿Hay otros estudios planeados?

No se planean más estudios globales que analicen tocilizumab en menores con artritis juvenil.

8. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Encontrará más información sobre este estudio en los sitios web que se indican a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT02165345>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2013-005212-98>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/jia/extension-study-evaluating-the-safety-and-efficacy-of-s-60855.html>

¿Con quién puedo ponerme en contacto si tengo preguntas sobre este estudio?

Si tiene más preguntas después de leer este resumen:

- Visite la plataforma ForPatients y rellene el formulario de contacto: <https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/jia/extension-study-evaluating-the-safety-and-efficacy-of-s-60855.html>
- Póngase en contacto con un representante en su oficina local de Roche.

Si participó en este estudio y desea hacer alguna pregunta sobre los resultados:

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

Si tiene preguntas sobre su propio tratamiento:

- Hable con el médico que está a cargo de su tratamiento.

¿Quién organizó y financió este estudio?

Este estudio fue organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd., cuya sede central se encuentra en Basilea (Suiza).

Título completo del estudio y otra información de identificación

El título completo de este estudio es: “Long-Term Extension Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Subcutaneous Tocilizumab in Patients With Polyarticular-Course and Systemic Juvenile Idiopathic Arthritis”

El estudio se conoce como **extensión a largo plazo JIGSAW**

- Número de protocolo de este estudio: WA29231.
- Identificador de ClinicalTrials.gov de este estudio: NCT02165345.
- Número EudraCT de este estudio: 2013-005212-98.

WA29231 – JIGSAW – Lay Person Summary (LPS) v3 – Resumen para el público general.

Traducción al castellano de fecha 12 de mayo de 2022 de la versión en inglés de abril de 2022.

