

## Resumen de los resultados de un ensayo clínico

### Estudio para evaluar la seguridad del baloxavir marboxil en niños menores de 1 año con gripe (miniSTONE-1)

Véase al final del resumen el título completo del estudio.

#### Acerca de este resumen

Este documento es el resumen de los resultados de un ensayo clínico (denominado «estudio» en este documento), redactado para:

- el público en general y
- los participantes en el estudio.

Este resumen se basa en la información conocida en el momento de su elaboración.

El estudio empezó en enero de 2019 y terminó en julio de 2023. Este resumen se redactó una vez concluido el estudio.

Ningún estudio individual puede darnos toda la información sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita la participación de muchas personas en muchos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los obtenidos en otros estudios realizados con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones basadas en este resumen; hable siempre con su médico antes de tomar decisiones relacionadas con el tratamiento de su hijo/a.**

#### Contenido del resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quién participó en este estudio?
3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?
4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?
5. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?
6. ¿Está previsto realizar otros estudios?
7. ¿Dónde puedo encontrar más información?

#### Gracias a las personas que participaron en este estudio

Las personas que participaron han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la gripe y el medicamento en estudio (baloxavir marboxil), lo que podría resultar beneficioso para la población general.

## Información fundamental sobre este estudio

- Este estudio se llevó a cabo para comprobar si el baloxavir marboxil es seguro en niños menores de 1 año de edad.
- En este estudio participaron 48 niños de 7 países (Costa Rica, Finlandia, México, Polonia, Sudáfrica, España y EE. UU.)
- El resultado principal es que el baloxavir marboxil es tan seguro en los niños menores de 1 año como en los niños mayores y los adultos
- Ninguno de los niños que participaron tuvo efectos secundarios graves relacionados con el baloxavir marboxil.

## 1. Información general sobre este estudio

### ¿Por qué se llevó a cabo este estudio?

La gripe, también llamada influenza, es una enfermedad causada por la infección por el virus de la gripe. Los síntomas habituales consisten en fiebre, tos, dolor de garganta, dolor corporal generalizado y cansancio.

La mayoría de las personas se recuperan de la gripe en una semana sin necesidad de acudir al médico. A veces, la gripe puede causar problemas más graves (complicaciones), como hinchazón/inflamación de los pulmones (neumonía) o infección de la sangre (sepsis). Los niños a menudo se ven afectados por la gripe, y tienen más probabilidades de presentar complicaciones que los adultos.

Hay muchos medicamentos de venta sin receta que se pueden usar para tratar los síntomas de la gripe, pero no tratan la causa: la infección vírica. Los antivíricos atacan directamente al virus de la gripe. Pueden ser recetados por un médico o farmacéutico. Cada año, millones de personas en todo el mundo necesitan tratamiento para la gripe.

El baloxavir marboxil es un tratamiento antivírico para la gripe que actúa de forma diferente a otros antivíricos. Se ha demostrado que es eficaz para tratar la gripe en adultos y niños que tienen al menos 1 año. En este estudio se evaluó la seguridad del baloxavir marboxil en niños menores de 1 año.

### ¿Qué medicamento se estaba estudiando?

Este estudio se centró en un medicamento llamado «baloxavir marboxil».

- Se pronuncia como se escribe.
- El baloxavir marboxil actúa impidiendo que el virus de la gripe haga copias de sí mismo en el organismo.
- Esto supone que la gripe será menos grave y que los niños se recuperarán con más rapidez si reciben baloxavir marboxil.

### ¿Qué querían averiguar los investigadores?

**La principal pregunta que los investigadores querían responder era la siguiente:**

¿Cuántos niños presentaron efectos secundarios (problemas médicos durante el estudio) debido al tratamiento con baloxavir marboxil?

## ¿Qué tipo de estudio era?

Se trató de un estudio de «fase 3», lo que significa que constituía una ampliación de los estudios anteriores para conocer los efectos secundarios del baloxavir marboxil en niños menores de 1 año. A continuación ya se puede decidir si el tratamiento puede aprobarse para que los médicos lo administren a niños muy pequeños.

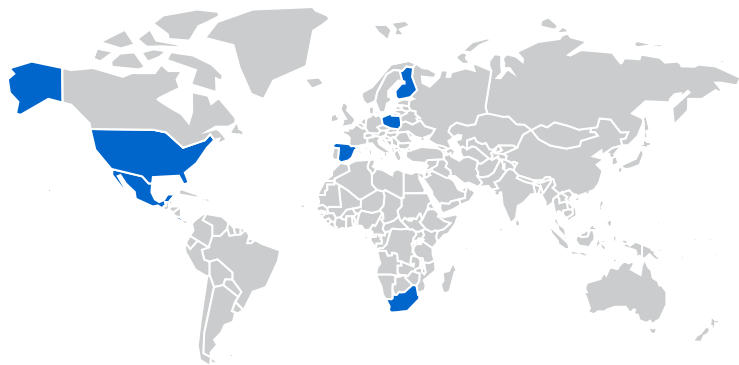
Este estudio tuvo un diseño «abierto», lo que significa que los participantes del estudio y los médicos conocían el medicamento del estudio que recibían los niños.

## ¿Cuándo y dónde tuvo lugar el estudio?

El estudio empezó en enero de 2019 y terminó en julio de 2023. Este resumen se redactó una vez concluido el estudio.

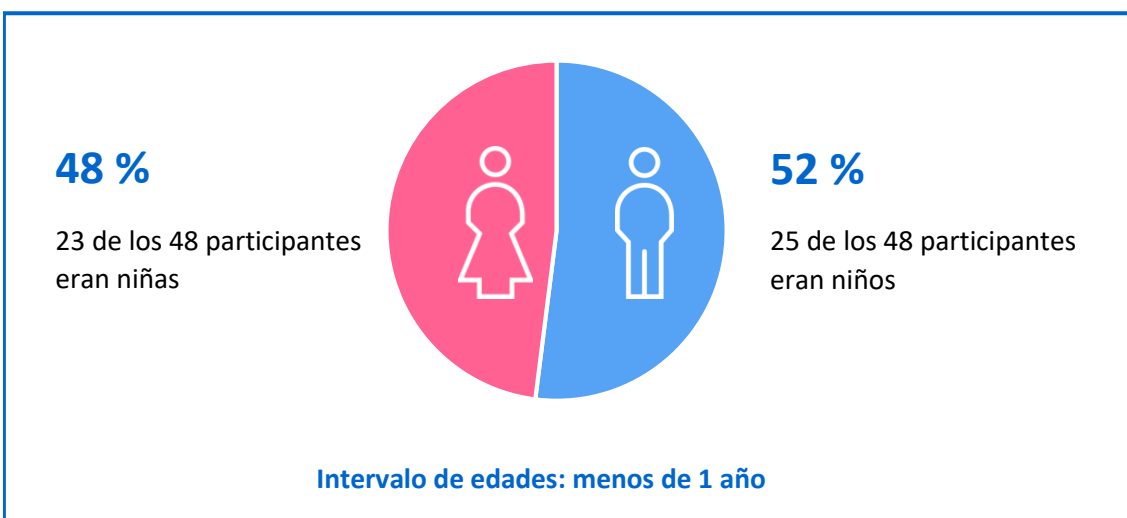
El estudio se llevó a cabo en 15 centros de los 7 países indicados en el mapa siguiente:

- Costa Rica
- Finlandia
- México
- Polonia
- Sudáfrica
- España
- Estados Unidos



## 2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

En este estudio participaron 48 niños menores de 1 año con gripe o infecciones similares a la gripe.



En el estudio pudieron participar niños:

- Menores de 1 año de edad
- Cuyos padres/cuidadores accedieran a su participación en el estudio
- Diagnosticados de gripe a partir del criterio del médico al evaluar los síntomas y un resultado positivo en una prueba de la gripe.
- Con un resultado negativo en una prueba de la covid-19 realizada en los 2 días siguientes a la visita a un médico
- Que consultaran a un médico en los 4 días siguientes al inicio de los síntomas gripales

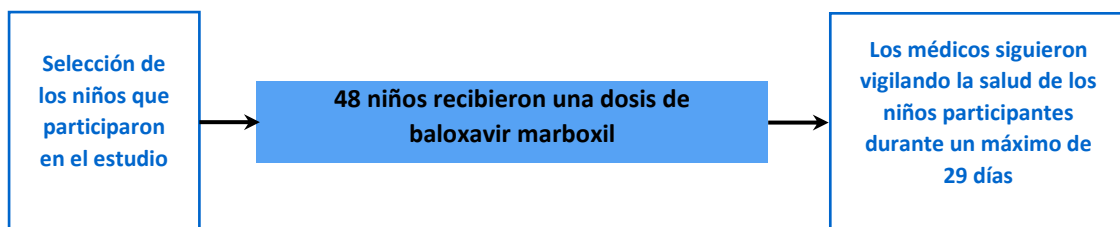
En el estudio no pudieron participar niños:

- Que necesitaran recibir tratamiento para la gripe (u otra enfermedad) en un hospital
- Que hubieran recibido otro tratamiento que pudiera afectar al mecanismo de acción del baloxavir marboxil
- Que hubieran nacido prematuramente o pesaran menos de 2,5 kg

### 3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?

Durante el estudio, todos los niños que participaron recibieron una dosis única de baloxavir marboxil por vía oral en forma de granulado mezclado con agua. La cantidad que recibieron dependía de su peso corporal.

Una vez finalizado el estudio, se pidió a los padres o cuidadores de los niños participantes que acudieran al centro del estudio para realizar más visitas, con el fin de comprobar la salud general de los niños. A continuación, se facilita más información sobre lo que sucedió en el estudio.



### 4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

**La pregunta principal:** ¿Cuántos niños sufrieron efectos secundarios debidos al tratamiento con baloxavir marboxil?

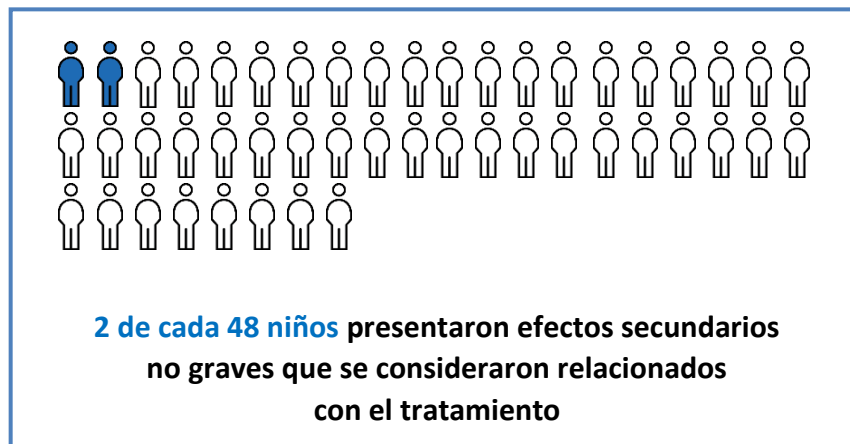
Los efectos secundarios son problemas médicos que se producen durante el estudio.

Los efectos secundarios no graves son problemas médicos (por ejemplo, mareo) que se producen durante un estudio. Los efectos secundarios graves son los que provocan una hospitalización no programada (o una hospitalización durante más tiempo del previsto), son potencialmente mortales o causan una discapacidad a largo plazo o la muerte. Tan solo se muestran los efectos secundarios que los médicos consideraron relacionados con el medicamento del estudio.

No todos los niños de este estudio sufrieron efectos secundarios.

Ninguno de los niños que participaron en este estudio tuvo efectos secundarios graves relacionados con el tratamiento del estudio.

De los 48 niños que participaron en este estudio, 2 (4 %) presentaron efectos secundarios no graves que se consideraron relacionados con el tratamiento. En los dos casos, el efecto secundario fue la diarrea.



Durante el estudio, ninguno de los niños tratados con baloxavir marboxil falleció por efectos secundarios que pudieran estar relacionados con el medicamento del estudio.

Ninguno de los niños tratados con baloxavir marboxil dejó de recibir el medicamento del estudio debido a los efectos secundarios.

En este apartado solo se muestran los resultados más importantes de este estudio. En los sitios web indicados al final de este resumen puede encontrar más información sobre los resultados del estudio (consulte el apartado 7).

## 5. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?

La información aquí presentada procede de un solo estudio de 48 niños menores de 1 año con gripe. Estos resultados ayudaron a los investigadores a saber más sobre la gripe y el baloxavir marboxil, lo que podría dar lugar a mejores tratamientos para la población general.

Los resultados fundamentales del estudio son que el baloxavir marboxil es seguro, en general, en niños menores de 1 año y que no se produjeron efectos secundarios graves relacionados con el tratamiento. Esto concuerda con el perfil de seguridad conocido del baloxavir marboxil en niños mayores, adolescentes y adultos.

Ningún estudio individual puede darnos toda la información sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita la participación de muchas personas en muchos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los obtenidos en otros estudios realizados con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones basadas en este resumen; hable siempre con su médico antes de tomar decisiones relacionadas con el tratamiento de su hijo/a.**

## 6. ¿Está previsto realizar otros estudios en niños?

Se siguen realizando estudios con baloxavir marboxil.

CENTERSTONE es un estudio en el que se investiga el efecto del baloxavir marboxil para detener la transmisión de la gripe en personas de 5 a 64 años de edad.

PEBBLESTONE es un estudio de baloxavir marboxil en niños de 1 a 11 años de edad en el que se investiga la resistencia del virus de la gripe, que consiste en la aparición de cambios en el interior de un virus que pueden hacer que el tratamiento antivírico sea menos eficaz.

Puede encontrar más información sobre estos estudios en:

- <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03969212>
- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT06094010>

## 7. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Puede encontrar más información sobre este estudio (miniSTONE-1) en los sitios web indicados a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03653364>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002154-70/FI>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- <https://www.ensayosclinicosroche.es/>

### ¿A quién puedo dirigirme si tengo preguntas sobre este estudio?

Si después de leer este resumen aún le quedan preguntas:

- Visite la plataforma ForPatients y cumplimente el formulario de contacto:  
<https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- También puede visitar la plataforma EnsayosClínicos y ponerse en contacto a través del siguiente formulario: <https://www.ensayosclinicosroche.es/es/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- Comuníquese con un representante de la oficina local de Roche.

Si su hijo/a ha participado en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- Hable con el médico del estudio

Si tiene preguntas sobre el tratamiento de su hijo/a:

- Hable con el médico encargado del tratamiento de su hijo/a

### ¿Quién ha organizado y financiado este estudio?

Este estudio ha sido organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd, con sede en Basilea, Suiza.

## **Título completo del estudio y otra información identificativa**

---

El título completo de este estudio es: «Estudio para evaluar la seguridad, la farmacocinética y la eficacia de baloxavir marboxil en participantes pediátricos sanos con síntomas seudogripales, desde el nacimiento hasta <1 año de edad».

El estudio se conoce como «miniSTONE-1».

- El código del protocolo correspondiente a este estudio es: CP40559
- El identificador de este estudio en ClinicalTrials.gov es: NCT03653364
- El número EudraCT de este estudio es: 2018-002154-70