

Miastenia grave generalizada (MGG) Miastenia grave (IAB)

## Estudio para Evaluar la Eficacia, Seguridad, Farmacocinética y Farmacodinamia de Satralizumab en Pacientes con Miastenia Gravis Generalizada

**Trial Status**  
Terminado

**Trial Runs In**  
17 Countries

**Trial Identifier**  
NCT04963270 WN42636

---

La información se obtuvo directamente de sitios web de registros públicos, como ClinicalTrials.gov, EuClinicalTrials.eu, ISRCTN.com, etc., y no se ha editado.

### Official Title:

Estudio multicentro de fase III, aleatorizado, doble ciego, controlado por placebo, para evaluar la eficacia, la seguridad, la farmacocinética y la farmacodinámica de satralizumab en pacientes con miastenia gravis generalizada

### Trial Summary:

Este estudio evaluará la eficacia, seguridad, farmacocinética y farmacodinámica de satralizumab en comparación con placebo en participantes con miastenia gravis generalizada (MMG).

**Hoffmann-La Roche**  
Sponsor

**Fase III**  
Phase

---

**NCT04963270 WN42636**  
Trial Identifiers

---

### Eligibility Criteria:

**Gender**  
Todos

**Age**  
#12 Años

**Healthy Volunteers**  
No

---

### ¿EN QUÉ CONSISTE EL ENSAYO CLÍNICO WN42636?

En este ensayo clínico se están inscribiendo personas que tienen un tipo de enfermedad llamada miastenia gravis (MG). Para poder participar, los pacientes deben tener una MG que afecte a varios grupos musculares en todo el cuerpo (MG generalizada [MGg]).

# ForPatients

*by Roche*

La finalidad de este ensayo clínico es conocer efectos, positivos o negativos, de satralizumab en combinación con el tratamiento actual (tratamiento de base) en pacientes con MGg. En este ensayo, recibirá satralizumab en combinación con el tratamiento de base o placebo en combinación con el tratamiento de base.

## **¿CÓMO PUEDO PARTICIPAR EN ESTE ENSAYO CLÍNICO?**

Para poder participar en este ensayo clínico, debe tener al menos 12 años y se le deberá haber diagnosticado MGg de acuerdo con ciertos criterios.

No debe haber recibido un diagnóstico de MG que afecte solo a los ojos (MG ocular) ni haberse sometido a una operación para extirpar el timo en los últimos 12 meses. No debe haber experimentado un episodio de crisis miasténica (en el que los músculos que usa para respirar se debilitan) en los últimos tres meses. No se permiten ciertos tipos de vacunas (de virus vivos y atenuados [debilitados]) en las seis semanas previas al inicio del ensayo clínico ni durante el mismo.

Si cree que este ensayo clínico puede ser adecuado para usted y le gustaría participar, hable con su médico. Si su médico considera que usted podría participar en este ensayo clínico, le enviará al médico del ensayo clínico más próximo, quien le facilitará toda la información que necesite para decidir si quiere participar en el ensayo. En esta página también encontrará los centros en los que se realiza el ensayo clínico.

Le harán algunas pruebas más para confirmar que puede recibir los tratamientos que se administran en este ensayo clínico. Algunos de estos procedimientos o pruebas pueden formar parte de su asistencia médica habitual. Se trata de pruebas que le harían aunque no participase en el ensayo clínico.

Antes de empezar el ensayo clínico, se le informará de los riesgos y beneficios de participar. También se le explicará qué otros tratamientos hay disponibles para que pueda decidir si quiere o no participar.

Mientras participen en el ensayo clínico y durante al menos tres meses después de que dejen de tomar el tratamiento del ensayo clínico y por motivos de seguridad, las mujeres (que no estén embarazadas pero puedan quedarse embarazadas) tendrán que abstenerse de mantener relaciones heterosexuales o tendrán que utilizar anticonceptivos.

## **¿QUÉ TRATAMIENTO RECIBIRÉ SI PARTICIPO EN ESTE ENSAYO CLÍNICO?**

Este ensayo clínico se divide en dos partes, denominadas período doble ciego (parte 1) y período abierto (parte 2).

En la Parte 1, todos los participantes en este ensayo clínico se dividirán en dos grupos al azar (como a cara o cruz) y se les administrará:

# ForPatients

*by Roche*

- Satralizumab en inyección bajo la piel (subcutánea) cada cuatro semanas durante 24 semanas (más una dosis extra en la semana 2) además de su tratamiento de base actual para la MGg

O

- Placebo en inyección bajo la piel (subcutánea) cada cuatro semanas durante 24 semanas (más una dosis extra en la semana 2) además del tratamiento de base actual con MGg

Tendrá las mismas probabilidades de ser asignado a uno u otro grupo.

Este ensayo clínico tiene un diseño “controlado con placebo”, lo que significa que uno de los grupos recibirá un medicamento sin principios activos (también llamado “placebo”). Se usa un placebo para demostrar que ni el médico ni los pacientes influyen en los resultados del ensayo clínico.

En la Parte 1, ni usted ni el médico del ensayo clínico podrán elegir ni conocer el grupo en el que estará. Sin embargo, el médico del ensayo clínico podrá averiguar cuál es su grupo si su seguridad corre peligro.

Si termina la parte 1 (período doble ciego) del ensayo clínico, podrá incorporarse a la parte 2 (período abierto). En la parte 2 recibirá satralizumab cada cuatro semanas durante entre dos y tres años y medio.

Durante las partes 1 y 2, seguirá recibiendo su tratamiento de base actual para la MGg en la misma cantidad hasta al menos la semana 12 de la Parte 2. No debe cambiar su tratamiento de base a menos que lo haya comentado con el médico del ensayo clínico.

## **¿CON QUÉ FRECUENCIA DEBERÉ ACUDIR A LAS VISITAS DE SEGUIMIENTO Y DURANTE CUÁNTO TIEMPO?**

Durante la Parte 1 del ensayo clínico, recibirá el tratamiento del ensayo clínico con satralizumab o placebo durante 24 semanas. Si continúa en la Parte 2 del ensayo clínico, la duración total de su participación podría llegar a ser de cuatro años.

Después de recibir el tratamiento, el médico del ensayo clínico le verá con regularidad. Estas visitas al hospital incluirán exploraciones para comprobar su respuesta al tratamiento y detectar cualquier efecto secundario que pueda presentar.

Tendrá libertad para interrumpir este tratamiento en cualquier momento. Después de la última dosis, el médico del ensayo clínico le hará un seguimiento durante un período de 12 semanas si usted es adulto y de 24 semanas si tiene entre 12 y 17 años.

## ¿Qué ocurre si no puedo participar en este ensayo clínico?

Si este ensayo clínico no es adecuado para usted, no podrá participar. Su médico le sugerirá otros ensayos clínicos en los que quizá pueda participar u otros tratamientos que pueda recibir. No perderá el acceso a su asistencia médica habitual.

Si desea más información sobre este ensayo clínico, consulte la pestaña For Expert en la página ForPatient específica o siga el siguiente enlace de <http://ClinicalTrials.gov>

Identificador del ensayo: NCT04963270

### ***Inclusion Criteria:***

- Edad  $\geq$  12 años en el momento de firmar el documento de consentimiento informado.
- Diagnóstico confirmado de MGg.
- MGFA clases II, III o IV en la selección.
- Puntuación total de las actividades cotidianas en la miastenia grave (MG ADL)  $\geq$  5 puntos en la selección con más del 50 % de esta puntuación atribuidos a apartados no oculares.
- Tratamiento activo para la MGg en una dosis estable, sin superar las dosis máximas permitidas.
- Para mujeres en edad fértil: compromiso de practicar la abstinencia (abstenerse de mantener relaciones heterosexuales) o de utilizar métodos anticonceptivos adecuados durante el período de tratamiento y hasta al menos 3 meses después de la última dosis de satralizumab.

### ***Exclusion Criteria:***

#### **Criterios de exclusión relacionados con la miastenia grave:**

- Antecedentes de quistes tímicos, timoma, carcinoma tímico u otra neoplasia del timo según la clasificación de la OMS de 2015 de tumores del timo, a menos que se consideren curados con un tratamiento adecuado sin signos de recidiva durante  $\geq$  5 años antes de la selección.
- Antecedentes de timectomía en los 6 meses previos a la selección.
- MG ocular (clase I de la MGFA).
- Crisis miasténica en los 3 meses previos a la selección (clase V de la MGFA).
- Enfermedad conocida distinta de la MGg que pudiera interferir en el curso.

#### **Criterios de exclusión relacionados con un tratamiento previo o concomitante**

- Uso de IgIV o inmunoglobulina subcutánea en las 6 semanas previas a la aleatorización (día 1).
- Uso de plasmaféresis en las 8 semanas previas a la aleatorización (día 1).
- Tratamiento inhibidor de la interleucina 6 (IL 6) (p. ej., tocilizumab) en cualquier momento.
- Tratamiento con irradiación corporal total o trasplante de médula ósea en cualquier momento.
- Tratamiento con fármacos reductores de los linfocitos B y/o T.
- Tratamiento con fármacos anti-CD20 dentro de las 6 semanas previas a la selección, a menos que los recuentos de CD19 estén dentro del intervalo normal, evaluados por el laboratorio central en la selección.
- Tratamiento con inhibidores del complemento C5 (p. ej. eculizumab o ravulizumab) en los 6 meses previos a la selección.
- Tratamiento con antagonistas del receptor Fc neonatal dentro de los 6 meses previos a la selección.
- Tratamiento con anticuerpo monoclonal estimulante anti linfocitos B en cualquier momento.

# ForPatients

*by Roche*

- Tratamiento con ciclofosfamida IV en los 6 meses previos a la selección.
- Tratamiento con metotrexato en las 8 semanas previas a la selección.
- Tratamiento con cualquier fármaco en investigación en las 24 semanas previas a la selección o el tiempo equivalente a 5 semividas de eliminación del fármaco en investigación, lo que suponga más tiempo.
- Uso de más de un IMD como tratamiento de base, excepto la combinación de un CO con otro IMD.

## **Criterios de exclusión generales relacionados con la seguridad**

- Cualquier intervención quirúrgica (excepto intervenciones de cirugía menor no oftálmica) en las 4 semanas previas al screening.
- Intervención quirúrgica programada (excepto intervenciones de cirugía menor no oftálmicas) durante el estudio.
- Signos de leucoencefalopatía multifocal progresiva.
- Signos de enfermedades concomitantes graves no controladas que puedan impedir la participación del paciente.
- Inmunodeficiencia congénita o adquirida, incluida la infección por el virus de la inmunodeficiencia humana.
- Presencia activa o presencia recurrente de infecciones bacterianas, víricas, micóticas, micobacterianas o de otro tipo (excluida la micosis de los lechos ungueales o las caries dentales) en el momento basal.
- Infección con necesidad de hospitalización o tratamiento con antiinfecciosos IV en las 4 semanas previas a la visita basal o con antiinfecciosos orales en las 2 semanas previas a la visita basal.
- Pruebas positivas de cribado de hepatitis B y C.
- Antecedentes de alcoholismo o toxicomanía en el año previo al momento basal.
- Antecedentes de diverticulitis o trastornos digestivos graves concomitantes que, en opinión del investigador, puedan aumentar el riesgo de complicaciones, como perforación digestiva.
- Signos de tuberculosis latente o activa.
- Recepción de una vacuna de microorganismos vivos o atenuados en las 6 semanas previas al momento basal.
- Recepción de una vacuna de microorganismos vivos o atenuados en las 6 semanas previas al momento basal.
- Antecedentes de donación de sangre (una unidad o más), donación de plasma o donación de plaquetas en los 90 días previos a la selección y el día 1.
- Antecedentes de neoplasia maligna en los últimos 5 años, como tumores sólidos, neoplasias malignas hemáticas y carcinoma in situ.
- Antecedentes de reacción alérgica grave a un producto.
- Ideas suicidas activas en los 6 meses previos a la selección o antecedentes de intento de suicidio en los 3 años previos a la selección.
- Cualquier enfermedad grave o anomalía en las pruebas analíticas que, a criterio del investigador, impida la participación segura del paciente y la realización del estudio.
- Embarazo o lactancia, o intención de quedarse embarazada durante el estudio o en los 3 meses siguientes a la última dosis de satralizumab.

## **Criterios analíticos de exclusión (en la selección):**

- Leucocitos  $<3,0 \times 10^3/\text{microl}$ .
- RAN  $<2,0 \times 10^3/\text{microl}$ .
- Recuento absoluto de linfocitos  $<0,5 \times 10^3/\text{microl}$ .
- Recuento de plaquetas  $<10 \times 10^4/\text{microl}$ .
- AST o ALT  $> 1,5$  veces el límite superior de la normalidad (LSN).