

Anemia de células falciformes

## Estudio para evaluar la eficacia, la seguridad, la farmacocinética y la farmacodinámica de crovalimab como tratamiento complementario en la prevención de episodios vasooclusivos (EVO) en la anemia de células falciformes (ACF)

**Trial Status**

No reclutando aún

**Trial Runs In**

6 Countries

**Trial Identifier**

NCT05075824 2020-004839-25  
BO42451

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 de fase IIa aleatorizado y doble ciego para evaluar la eficacia, la seguridad, la farmacocinética y la farmacodinámica de crovalimab como tratamiento complementario en la prevención de episodios vasooclusivos (EVO) en la anemia de células falciformes (ACF)

### Trial Summary:

Este estudio está diseñado para evaluar la eficacia, la seguridad y la farmacocinética de crovalimab en comparación con el placebo como tratamiento complementario en la prevención de las VOE en participantes con ECF.

**Hoffmann-La Roche**

Sponsor

**Fase II**

Phase

**NCT05075824 2020-004839-25 BO42451**

Trial Identifiers

### Eligibility Criteria:

**Gender**

Todos

**Age**

#12 Años & # 55 Años

**Healthy Volunteers**

No

### ¿CÓMO FUNCIONA EL ENSAYO CLÍNICO BO42451?

En este ensayo clínico se seleccionan pacientes con anemia de células falciformes (ACF). El propósito de este ensayo clínico es comparar los efectos, positivos o negativos,

# ForPatients

*by Roche*

del crovalimab frente a placebo en pacientes con ACF. En este ensayo clínico, recibirá crovalimab o placebo.

## ¿CÓMO PUEDO PARTICIPAR EN ESTE ENSAYO CLÍNICO?

Podrá participar en este ensayo clínico si:

- Le han diagnosticado un cierto tipo de enfermedad de células falciformes (anemia de células falciformes o talasemia falciforme beta cero).
- Tiene entre 12 y 55 años.
- Ha tenido al menos dos (pero no más de diez) ataques de dolor (crisis) que requirieron atención médica en el último año.
- Está al día con ciertas vacunas.

No podrá participar en este ensayo clínico si:

- Ha recibido previamente un trasplante de células madre.
- Está participando en un programa de transfusión crónica.
- Está embarazada, dando el pecho o tiene la intención de quedar embarazada durante o poco después del ensayo clínico.
- Ha tenido una infección reciente.

Es posible que tampoco pueda participar en el ensayo clínico si padece otras afecciones médicas o si ha recibido anteriormente ciertos medicamentos.

Si cree que este ensayo clínico puede ser adecuado para usted y le gustaría participar, hable con su médico. Si su médico cree que podría participar en este ensayo clínico, le derivará al médico del ensayo clínico más cercano, quien le facilitará toda la información que necesite para decidir si quiere participar en el ensayo clínico. Asimismo, puede encontrar las ubicaciones del ensayo clínico en esta página.

Se le harán más pruebas para verificar que puede tomar los tratamientos administrados en este ensayo clínico. Algunas de estas pruebas o procedimientos pueden ser parte de su atención médica habitual, y puede que se le realicen incluso si no participa en el ensayo clínico. Si ya se ha hecho algunas de estas pruebas recientemente, puede que no sea necesario tener que realizarlas otra vez.

Antes de que empiece el ensayo, se le facilitará información sobre cualquier riesgo y beneficio de participar en el ensayo, y se le explicará qué otros tratamientos existen, de manera que pueda decidir si todavía quiere participar.

Por razones de seguridad, las mujeres que no estén actualmente embarazadas pero que puedan quedar embarazadas, deberán aceptar usar un método anticonceptivo fiable o no tener relaciones heterosexuales mientras participan en el ensayo clínico.

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

Las personas que participen en este ensayo clínico se repartirán en dos grupos de manera aleatoria (como cuando se lanza una moneda al aire) y recibirán:

- Crovalimab administrado por vía intravenosa el día 1 y luego por vía subcutánea (debajo de la piel) el día 2. Después de esto, el crovalimab se administrará por vía subcutánea una vez a la semana en las semanas 2, 3, 4 y 5, y luego una vez cada cuatro semanas hasta la finalización del ensayo (unas 48 semanas después de comenzar el tratamiento).
- Placebo administrado por vía intravenosa el día 1 y luego por vía subcutánea (debajo de la piel) el día 2. Después de esto, el placebo se administrará por vía subcutánea una vez a la semana en las semanas 2, 3, 4 y 5, y luego una vez cada cuatro semanas hasta la finalización del ensayo (unas 48 semanas después de comenzar el tratamiento).

La probabilidad de que se le asigne a cualquiera de los dos grupos es la misma.

Durante el ensayo clínico, puede seguir recibiendo el tratamiento estándar para la anemia de células falciformes según lo recomendado por su médico del ensayo clínico.

Este ensayo clínico está «controlado con placebo», lo que significa que uno de los grupos recibirá una infusión salina (agua con sal) que no contiene principio activo (también conocido como «placebo»). El placebo se usa como control, para asegurarse de que cualquier efecto sobre la salud se deba al tratamiento del ensayo clínico y no a otros factores.

Ni usted ni su médico del ensayo clínico pueden elegir o saber el grupo en el que está. No obstante, su médico del ensayo clínico puede averiguar en qué grupo está por razones de seguridad y de manera excepcional.

## **¿CON QUÉ FRECUENCIA SE ME HARÁN REVISIONES EN VISITAS DE SEGUIMIENTO, Y DURANTE CUÁNTO TIEMPO?**

Se le administrará el tratamiento del ensayo clínico (crovalimab) o el placebo durante 48 semanas. Es libre de dejar de tomar este tratamiento en cualquier momento. Durante el ensayo, el médico del ensayo clínico lo examinará con regularidad y también se le realizarán algunos seguimientos telefónicos. Estas llamadas incluirán revisiones para comprobar cómo está respondiendo al tratamiento y si presenta efectos secundarios. Una vez finalizado el tratamiento del ensayo clínico, tendrá una única visita adicional 24 semanas después de la dosis final del tratamiento para verificar cualquier efecto secundario que pueda haber tenido.

# ForPatients

*by Roche*

La duración total en el ensayo clínico, incluida la visita de seguimiento adicional 24 semanas después de haber interrumpido el tratamiento, será de aproximadamente 72 semanas.

## **¿QUÉ SUCEDE SI NO SOY APTO PARA PARTICIPAR EN ESTE ENSAYO CLÍNICO?**

Si este ensayo clínico no es adecuado para usted, no podrá participar. Su médico le indicará otros ensayos clínicos en los que usted podría participar u otros tratamientos que se le podrían administrar. Usted no dejará de tener acceso a su atención médica habitual.

Para obtener más información sobre este ensayo clínico consulte la pestaña Para Especialistas en la página específica EnsayosClinicosRoche o siga este enlace a [ClinicalTrials.gov](https://ClinicalTrials.gov)

Identificador del ensayo: NCT05075824

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

- Firma del documento de consentimiento informado (DCI) o asentimiento firmado cuando proceda, según lo determinado por la edad del paciente y las normas de cada centro y país.
- Edad  $\geq 12$  y  $\leq 55$  años.
- Peso  $\geq 40$  kg.
- Varones o mujeres con diagnóstico confirmado de anemia de células falciformes (genotipo homocigótico falciforme de la globina beta [HbSS] o falciforme de la globina beta y talasemia beta cero [HbS#0]).
- Dos o más ( $\geq 2$ ) a  $\leq 10$  EVO documentados en los 12 meses previos a la aleatorización.
- En caso de recibir tratamiento dirigido contra la ACF concomitante, el paciente debe estar recibiendo una dosis estable, exceptuando los ajustes basados en el peso, con un buen cumplimiento terapéutico según la evaluación del investigador, durante un mínimo de 3 meses antes de su inclusión en el estudio (día 1). No está previsto modificar la dosis de los pacientes a lo largo del estudio, salvo por motivos de seguridad.
- En caso de recibir eritropoyetina, el paciente deberá haber recibido este medicamento durante los 3 meses anteriores y haber mantenido una dosis estable durante al menos 3 meses antes de su inclusión.
- Vacunación contra Neisseria meningitidis, H. influenzae de tipo B y S. pneumoniae.
- Pacientes que hayan sido vacunados (parcial o totalmente) contra (SARS-CoV-2) con una vacuna aprobada localmente 3 días o más después de la inoculación.
- Función hepática y renal adecuada.
- Las mujeres con capacidad de quedarse embarazadas deben comprometerse a practicar abstinencia sexual (no mantener relaciones sexuales) o a usar métodos anticonceptivos durante el período de tratamiento y durante 6 meses después de la última dosis del tratamiento del estudio con crovalimab.

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

- Antecedentes de trasplante de células madre.
- Participación en un programa de transfusiones crónicas y/o previsión de someterse a una transfusión de intercambio durante el estudio. Se permite una transfusión simple episódica.

# ForPatients

*by Roche*

- Antecedentes de reacciones de hipersensibilidad, alérgicas o anafilácticas a cualquiera de los componentes contenidos en el tratamiento del estudio.
- Haber recibido tratamiento activo en otro ensayo de investigación en los 28 días previos a la visita de selección o tener previsto participar en otro ensayo con un fármaco en investigación.
- Hemoglobina <6 g/dL.
- Sospecha o certeza de deficiencia hereditaria del complemento.
- Infección bacteriana, vírica o micótica sistémica activa en los 14 días previos a la primera administración del fármaco.
- Presencia de fiebre ( $\geq 38^{\circ}$  C) en los 7 días previos a la primera administración del fármaco.
- Vacunación con una vacuna de microorganismos vivos atenuados en el mes previo a la primera administración del fármaco.
- Embarazo o lactancia, o intención de quedarse embarazada durante el estudio o en los 6 meses siguientes a la última dosis del tratamiento del estudio.
- Infección conocida por el VIH con un recuento documentado de CD4 <200 cells/microliter en las 24 semanas previas a la selección.
- Antecedentes de infección por N. meningitidis en los 6 meses anteriores.
- Toxicomanía en los 12 meses previos a la selección, a criterio del investigador.
- Haber recibido tratamiento previo con crovalimab u otro inhibidor del complemento.
- Antecedentes de neoplasia maligna en los 5 años previos a la selección y hasta la primera administración del fármaco (día 1), con algunas excepciones.