

Anemia de células falciformes

Estudio en fase Ib, aleatorizado y controlado con placebo para evaluar la seguridad, farmacocinética, farmacodinámica y eficacia de crovalimab para el tratamiento de episodios vasooclusivos (EVO) agudos no complicados en pacientes con anemia de células falciformes (ACF)

Estudio clínico para comprender la seguridad de crovalimab y si crovalimab podría beneficiar a las personas con anemia células falciformes (ACF) al tratar las crisis de dolor, también denominadas episodios vasooclusivos (EVO).

Trial Status
Completado

Trial Runs In
10 Countries

Trial Identifier
NCT04912869 2020-004840-27
BO42452

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 Ib, aleatorizado y controlado con placebo para evaluar la seguridad, la farmacocinética, la farmacodinámica y la eficacia de crovalimab para el tratamiento de los episodios vasooclusivos (EVO) no complicados agudos, en pacientes con anemia de células falciformes (ACF)

Trial Summary:

El propósito de este estudio es evaluar el crovalimab para el tratamiento de una crisis de dolor de células falciformes (también conocida como EVO) que requiere hospitalización en participantes adultos y adolescentes con ECF. El objetivo principal de este estudio es la seguridad y, además, se evaluará la farmacocinética (cómo procesa el cuerpo el crovalimab), la farmacodinámica (cómo reacciona el cuerpo al crovalimab) y la eficacia preliminar del crovalimab en comparación con el placebo.

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Fase I
Phase

NCT04912869 2020-004840-27 BO42452
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender Todos	Age #12 Años & # 55 Años	Healthy Volunteers No
-----------------	-----------------------------	--------------------------

1. ¿Por qué es necesario el ensayo clínico CROSSWALK-a?

El objetivo de este ensayo clínico es comprender la seguridad de crovalimab, si crovalimab puede tratar las crisis de dolor en las personas que padecen anemia de células falciformes, y cómo el organismo procesa (farmacocinética) y reacciona (farmacodinámica) a crovalimab.

2. ¿Cómo funciona el ensayo clínico CROSSWALK-a?

Este ensayo clínico está reclutando a personas con anemia de células falciformes que experimentan ataques de dolor (crisis) que requieren que la persona acuda al hospital. Las personas pueden participar si se les ha diagnosticado un determinado tipo de enfermedad de células falciformes: anemia de células falciformes o talasemia beta cero. Las personas que participen en este ensayo clínico recibirán SOLO una dosis de crovalimab o placebo, una sustancia inofensiva que tiene el mismo aspecto que un medicamento, pero que no contiene principio activo, cuando sean ingresadas en el hospital. El médico del ensayo clínico visitará al participante todos los días durante su hospitalización.

Durante el ensayo clínico, el participante puede continuar recibiendo el tratamiento de referencia para su ataque de dolor (crisis) según lo recomendado por el médico. Una vez que el participante abandone el hospital, se realizarán 5 revisiones telefónicas y 2 visitas a la clínica con el médico del ensayo clínico para comprobar el estado general de salud y bienestar del participante. El tiempo total de participación en el ensayo clínico será de unos 322 días (aproximadamente 10,5 meses). Los participantes pueden interrumpir el tratamiento del ensayo y abandonar el ensayo clínico en cualquier momento.

3. ¿Cuáles son los criterios de valoración principales del ensayo clínico CROSSWALK-a?

Los principales criterios de valoración del ensayo clínico (los principales resultados que se estudian en el ensayo para ver si el fármaco funciona) evalúan la seguridad de crovalimab. Los otros criterios de valoración del ensayo clínico incluyen evaluar si crovalimab puede tratar las crisis de dolor y la forma en que el cuerpo procesa (farmacocinética) y reacciona (farmacodinámica) a crovalimab.

4. ¿Quién puede participar en este ensayo clínico?

Las personas pueden participar en este ensayo clínico si se les ha diagnosticado un determinado tipo de ACF (anemia de células falciformes o talasemia beta cero), experimentan actualmente un ataque de dolor (crisis) que requiere a la persona acudir

al hospital para recibir tratamiento, tienen entre 12 y 55 años y están al día con ciertas vacunas.

Es posible que las personas no puedan participar en este ensayo si han tenido más de 10 ataques de dolor (crisis) que requieran una visita al médico en el último año, están experimentando dolor que no sea una crisis por ACF, o tienen una infección en curso o han tenido una infección reciente.

5. ¿Qué tratamiento se administrará a los participantes en este ensayo clínico?

Todos los que participen en este ensayo clínico se dividirán en dos grupos de forma aleatoria (como cuando se lanza una moneda al aire) y recibirán:

- Crovalimab, administrado en una única infusión en la vena

o bien

- Placebo, administrado en una única infusión en la vena

Los participantes tendrán una probabilidad de 2 sobre 3 (67 %) de ser incluidos en el grupo de crovalimab y una probabilidad de 1 sobre 3 (33 %) de ser incluidos en el grupo de placebo.

Se trata de un ensayo doble ciego, lo que significa que ni el participante ni el personal del estudio sabrán qué tratamiento recibe el participante ni podrán decidir qué tratamiento recibirá hasta que el ensayo haya finalizado. Sin embargo, el médico del ensayo clínico del participante podrá averiguar el grupo en que está el participante si su seguridad está en riesgo. Este enfoque ayuda a prevenir sesgos y expectativas sobre lo que sucederá.

6. ¿Existen riesgos o beneficios por participar en este ensayo clínico?

Muchos ensayos conllevan ciertos riesgos para el participante. No obstante, pueden no ser mayores que los riesgos relacionados con la atención médica habitual o la progresión natural de la anemia de células falciformes. A las personas que deseen participar se les informará de cualquier riesgo y beneficio que suponga participar en el ensayo clínico, así como de cualquier procedimiento, prueba o evaluación adicionales a las que deban someterse. Todos estos se describirán en un formulario de consentimiento informado (un documento que contiene información importante sobre el estudio, lo que implica participar y consideraciones clave para tomar una decisión voluntaria sobre si participar en el ensayo clínico).

Riesgos asociados a los fármacos del ensayo clínico

Los participantes podrán sufrir efectos secundarios (efectos no deseados de un fármaco o tratamiento médico) de los fármacos utilizados en este ensayo clínico. Los efectos secundarios pueden ser de leves a graves, e incluso suponer una amenaza para la vida, y pueden variar de una persona a otra. Los participantes estarán sujetos a supervisión estricta durante el ensayo clínico, y se llevarán a cabo evaluaciones periódicas de seguridad.

Crovalimab

Se informará a los participantes de los efectos secundarios conocidos y de los efectos secundarios posibles de crovalimab.

Dado que el tratamiento del estudio se administrará mediante infusión en vena (infusión intravenosa), se informará a los participantes de cualquier efecto secundario conocido de la infusión.

Posibles beneficios asociados al ensayo clínico

La salud de los pacientes puede o no mejorar por la participación en el ensayo clínico. Aun así, la información recopilada puede ayudar a las personas con ACF en el futuro.

Inclusion Criteria:

- Peso corporal # 40 kg.
- Diagnóstico confirmado de HbSS (genotipo de anemia de células falciformes) o HbS#0 (genotipo de talasemia beta cero de células falciformes)
- Vacunación contra *Neisseria meningitidis*.
- Vacunación contra *Neisseria meningitidis* y vacunación contra *Haemophilus influenzae* tipo B y *Streptococcus pneumoniae*
- Diagnóstico de EVO agudo no complicado que requiere ingreso en un hospital y tratamiento con analgésicos opiáceos parenterales
- Función hepática y renal adecuada
- Los participantes que estén recibiendo tratamientos para la anemia de células falciformes deben estar recibiendo una dosis estable durante # 28 días

Exclusion Criteria:

- Más de 10 EVO en los últimos 12 meses antes de la presentación, que hayan requerido una visita a un centro médico.
- Dolor relacionado con el EVO actual en curso durante >48 horas.
- Dolor agudo relacionado con necrosis avascular, sequestro hepático o esplénico o priapismo, y dolor atípico de un EVO no complicado agudo.
- Transfusión o recepción de hemoderivados en los 3 meses anteriores o participación actual en un protocolo de transfusiones crónicas.
- Deficiencia hereditaria del complemento conocida o sospechada.

ForPatients

by Roche

- Estar embarazada o en periodo de lactancia, o tener intención de quedarse embarazada durante el estudio o en un plazo de 322 días (aproximadamente 10,5 meses) después de la administración del fármaco del estudio.