

## La seguridad y la eficacia de la alfa 1-antitripsina en la prevención de la enfermedad de injerto-contra-huésped en pacientes que reciben un trasplante de células hematopoyéticas

<b>Estado</b> No iniciado	<b>Tipo de Participantes</b> Población especialmente vulnerable , Pacientes	<b>Rangos de Edad</b> Mayores de 64 , Adultos (18 - 64) , Adolescentes
<b>Género</b> Ambos	<b>Fases</b> Fase II , Fase III	<b>Participantes esperados</b> 310

## Información

### Identificador

2018-000329-29

### Enfermedad investigada

la enfermedad de injerto-contra-huésped es una complicación que ocurre frecuentemente despues de un transplante de celulas hamatopoyéticas estas dañan los organos del paciente

### Título Científico

Estudio de fase 2/3, multicéntrico, aleatorizado, con doble enmascaramiento, controlado con placebo para evaluar la seguridad y la eficacia de la alfa 1-antitripsina en la prevención de la enfermedad de injerto-contra-huésped en pacientes que reciben un trasplante de células hematopoyéticas (Estudio MODULAATE).

### Justificación

No aportado

### Objetivo Principal

Evaluar la eficacia de la AAT a la dosis seleccionada para la prevención de la EICH aguda tras un THB.

### VARIABLES DE EVALUACIÓN PRIMARIA

la incidencia de la supervivencia sin enfermedad injerto contra huésped aguda

### Momentos temporales de evaluación primaria

a los 180 días del THB.

### Objetivo Secundario

1. Evaluar la eficacia de la AAT, incluida la prevención de las complicaciones posteriores al THB.
2. Evaluar la seguridad de la AAT tomando como base la incidencia de infecciones sistémicas y acontecimientos adversos (AA) relacionados.
3. Evaluar la FC de la AAT en los receptores de THB.

### Variables de Evaluación Secundaria

- ¿180 y en los 365 días posteriores al Incidencia de EICHa de grado II-IV en los 100 y en los 180 días posteriores al THB
- ¿Incidencia de EICHa de grado III-IV en los 100 y en los 180 días posteriores al THB
- ¿Mortalidad por cualquier causa a los 180 y a los 365 días del THB
- ¿Incidencia de EICH de grados II, III o IV en los 100 y en los 180 días posteriores al THB
- ¿Tiempo transcurrido hasta la muerte por cualquier causa
- ¿Tiempo transcurrido hasta la muerte sin recaída
- ¿Incidencia de EICH crónica de moderada a grave en los 180 y en los 365 días posteriores al THB
- ¿Incidencia de la interrupción de la inmunodepresión en los 180 y en los 365 días posteriores al THB
- ¿Tiempo hasta la aceptación del injerto de neutrófilos
- ¿Supervivencia sin recaída de la EICH tras más de 365 días desde el THB
- ¿Incidencia de recaídas de las neoplasias malignas principales en los THB
- ¿Incidencia de infecciones sistémicas a los 60 y a los 180 días del THB
- ¿Incidencia de AA relacionados con el fármaco del estudio
- ¿Parámetros de FC, incluidos la concentración máxima (C<sub>máx</sub>), el área bajo la curva (ABC)<sub>0-t</sub>, las concentraciones mínimas (C<sub>mín</sub>), el aclaramiento, el volumen de distribución (V) y otros, según resulte necesario

### Momentos temporales de evaluación secundaria

- Entre 100 y 180 días post-THB
- Entre 100 y 180 días post-THB
- Entre 180 y 365 días post-THB
- Entre 100 y 180 días post-THB
- Entre 100 y 180 días post- THB
- Entre 100 y 180 días post-THB
- Hasta 365 días post-THB
- Hasta 365 días post-THB
- Entre 180 y 365 días post-THB
- Entre 180 y 365 días post-THB
- Hasta 365 días post-THB
- Up to 365 days post-HCT
- entre 180 y 365 días post-THB
- A los 60 and 180 días post-THB
- Hasta 365 días post-THB
- Antes y hasta 72 días despues de la infusion AAT
- Antes y hasta 72 días despues de la infusion AAT
- Antes y hasta 72 días despues de la infusion AAT
- Antes y hasta 72 días despues de la infusion AAT

### Criterios de Inclusión

1. Sujetos de sexo masculino o femenino,  $\geq$  12 años y sometidos a un THB para el tratamiento de neoplasias hematológicas como la leucemia, el linfoma y el mieloma múltiple.
2. Pauta de acondicionamiento mieloablatoivo prevista

### Criterios de Exclusión

1. THB autólogo o alógeno anterior.
2. Trasplante con reducción de linfocitos T o uso previsto de un tratamiento con anticuerpos antilinfocitos T ex vivo o in vivo (p. ej., globulina antitimocítica [GAT], alemtuzumab) durante el estudio.
3. Trasplante de sangre del cordón umbilical previsto.

## Calendario

<b>Autorización</b> 28/01/2019	<b>Inicio de Ensayo</b> No aportado	<b>Fin de ensayo</b> No aportado	<b>Última actualización</b> No aportado
-----------------------------------	--	-------------------------------------	--

## Promotor

**CSL Behring LLC Estados Unidos**  
1020 First Avenue PA 19406 King of Prussia

**Contact Person**

CSL Behring LLC - Trial Registration Coordinator  
610 878 4000

[clinicaltrials@cslbehring.com](mailto:clinicaltrials@cslbehring.com)

Monetary support: Commercial/Industry|

## Centros

No iniciado (28/01/2019)	<b>COMPLEJO HOSPITALARIO DE NAVARRA</b> Pamplona/Iruña NAVARRA Hematology
No iniciado (28/01/2019)	<b>COMPLEJO HOSPITALARIO REGIONAL DE MÁLAGA</b> Málaga MÁLAGA Hematology
No iniciado (28/01/2019)	<b>HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON</b> Barcelona BARCELONA Hematology
No iniciado (28/01/2019)	<b>HOSPITAL UNIVERSITARIO MARQUÉS DE VALDECILLA</b> Santander CANTABRIA Hematology

## Medicamentos

<b>Respreeza</b> Polvo y disolvente para solución para perfusión Principios Activos: Alpha-1 antitrypsin  Experimental
---

## Sin resultados

The safety and efficacy of Alpha-1 Antitrypsin (AAT) for the prevention of graft-versus-host disease (GVHD) in patients receiving hematopoietic cell transplant

<b>State</b> Not initiated	<b>Type of participants</b> Population especially vulnerable , Patient	<b>Age Ranges</b> Older than 64 , Adults (18 - 64) , Teens
<b>Gender</b> Both	<b>Phases</b> Phase II , Phase III	<b>Expected Participants</b> 310

## Information

### Identifier

2018-000329-29

### Investigated Disease

Graft-versus-host disease is a complication that frequently occurs following hematopoietic cell transplantation when the transplanted cells attack the patients' organs leading to organ damage.

### Scientific Title

A Phase 2/3, Multicenter, randomized, Double-blind, placebo-controlled, study to evaluate the safety and efficacy of Alpha-1 Antitrypsin for the prevention of graft-versus-host disease in patients receiving hematopoietic cell transplant (MODULAATE Study)

### Rationale

Not provided

### Main Objective

To evaluate the efficacy of AAT at the selected dose for the prevention of acute GVHD following HCT.

### Primary Endpoints

Percent of subjects with acute graft-versus-host-disease-free survival

### Temporary moments of secondary assessment

180 days post-hematopoietic cell transplantation

---

### Secondary Objective

1. To evaluate the efficacy of AAT, including the prevention of post-hematopoietic cell transplant complications. 2. To evaluate the safety of AAT, based on incidence of systemic infections and related adverse events. 3. To evaluate the pharmacokinetics of AAT in HCT recipients.

---

### Secondary Endpoints

- Percent of subjects with Grade II-IV acute GVHD -Percent of subjects with Grade III-IV acute GVHD -Number of subjects with all-cause mortality
- Percent of subjects with Grade II aGVHD -Percent of subjects with Grade III aGVHD -Percent of subjects with Grade IV aGVHD -Time to all-cause mortality
- Time to non-relapse mortality
- Percent of subjects with moderate-to-severe chronic GVHD
- Percent of subjects with discontinuation of immune suppression -Time to neutrophil engraftment
- Time to GVHD relapse-free survival -Percent of subjects with relapse of primary malignancies -Percent of subjects with systemic infections
- Percent of subjects with study drug related adverse events -Maximum concentration (Cmax) of AAT
- Area under the concentration curve (AUC) for AAT
- Clearance (CL) of AAT
- Volume of distribution (V) for AAT

---

### Temporary moments of secondary assessment

- Within 100 and 180 days post-HCT
- Within 100 and 180 days post-hematopoietic cell transplant (HCT)
- Within 180 and 365 days post-HCT
- Within 100 and 180 days post-HCT
- Within 100 and 180 days post-HCT
- Within 100 and 180 days post-HCT
- Up to 365 days post-HCT
- Up to 365 days post-HCT
- Within 180 and 365 days post-HCT
- Within 180 and 365 days post-HCT
- Up to 365 days post-HCT
- Up to 365 days post-HCT
- Within 180 and 365 days post-HCT
- At Days 60 and 180 post-HCT
- Up to 365 days post-HCT
- Before and up to 72 after infusion of AAT
- Before and up to 72 after infusion of AAT
- Before and up to 72 after infusion of AAT

---

### Inclusion criteria

1. Male or female subjects,  $\geq$  12 years of age, undergoing HCT for hematological malignancies, including leukemia, lymphoma and multiple myeloma
2. Planned myeloablative conditioning regimen

---

### Exclusion criteria

1. Prior autologous or allogeneic HCT
2. T-cell depleted transplant or planned use of anti-T cell antibody therapy either ex vivo or in vivo
3. Planned umbilical cord blood (UCB) transplant

## Calendar

Authorization	Start of Trial	End of trial	Last Update
28/01/2019	No aportado	No aportado	No aportado

## Sponsor

**CSL Behring LLC Estados Unidos**  
1020 First Avenue PA 19406 King of Prussia

**Contact Person**

CSL Behring LLC - Trial Registration Coordinator  
610 878 4000

[clinicaltrials@cslbehring.com](mailto:clinicaltrials@cslbehring.com)

Monetary support: Commercial/Industry|

## Sites

not initialized (28/01/2019)	<b>COMPLEJO HOSPITALARIO DE NAVARRA</b> Pamplona/Iruña NAVARRA Hematology
not initialized (28/01/2019)	<b>COMPLEJO HOSPITALARIO REGIONAL DE MÁLAGA</b> Málaga MÁLAGA Hematology
not initialized (28/01/2019)	<b>HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON</b> Barcelona BARCELONA Hematology
not initialized (28/01/2019)	<b>HOSPITAL UNIVERSITARIO MARQUÉS DE VALDECILLA</b> Santander CANTABRIA Hematology

## Medication

<b>Respreeza</b> Polvo y disolvente para solución para perfusión Active Principles: Alpha-1 antitrypsin  Experimental
--

## No results