

Estudio para evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad de rozanolixizumab en adultos participantes en el estudio con trombocitopenia inmune primaria persistente o crónica

Estado Reclutando	Tipo de Participantes Población especialmente vulnerable , Pacientes	Rangos de Edad Mayores de 64 , Adultos (18 - 64)
Género Ambos	Fases Fase III	Participantes esperados 105
Resultados Sin resultados	Bajo nivel intervención No	Enfermedad rara Si

Información

Identificador

2019-003451-11

Enfermedad investigada

La trombocitopenia inmune primaria es una enfermedad autoinmune que se caracteriza por un recuento bajo de plaquetas aisladas (trombocitopenia) y la ausencia de otras causas de trombocitopenia

Título Científico

Estudio de fase 3, multicéntrico, en doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo, para evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad de rozanolixizumab en adultos con trombocitopenia inmune primaria persistente o crónica

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Demostrar la eficacia clínica de rozanolixizumab en el tratamiento de

mantenimiento de los pacientes del estudio con trombocitopenia inmune primaria

Variables de Evaluación Primaria

Respuesta plaquetaria duradera clínicamente significativa de $\geq 50 \times 10^9/L$ durante las últimas 12 semanas

Momentos temporales de evaluación primaria

Durante las últimas 12 semanas (semana 13 a semana 25)

Objetivo Secundario

Evaluar la seguridad y tolerabilidad de rozanolixizumab

Variables de Evaluación Secundaria

1. Número acumulado de visitas con respuesta plaquetaria clínicamente significativa $\geq 50 \times 10^9/l$. 2. Respuesta definida como recuento plaquetario $\geq 30 \times 10^9/l$ y al menos un aumento de 2 veces el recuento inicial confirmado en al menos 2 ocasiones separadas en dos visitas nominales adyacentes con al menos 7 días de diferencia y ausencia de hemorragia por visita. 3. Respuesta completa, definida como recuento plaquetario $\geq 100 \times 10^9/l$ confirmado en al menos 2 ocasiones separadas en dos visitas nominales adyacentes con al menos 7 días de diferencia y ausencia de hemorragia por visita. 4. Tiempo de respuesta plaquetaria clínicamente significativa de $\geq 50 \times 10^9/l$ tiempo desde el inicio de del tratamiento hasta el logro de la primera respuesta $\geq 50 \times 10^9/l$ 5. Respuesta plaquetaria clínicamente significativa de $\geq 50 \times 10^9/l$ en el día 8 6. Tiempo para la primera terapia de rescate 7. Respuesta definida como cambio desde el tiempo basal a o por encima de lo definido en el umbral de síntomas del Cuestionario de evaluación del paciente ITP (ITPPAQ) 8. Ocurrencia de efectos adversos emergentes del tratamiento (TEAE). 9. Ocurrencia de TEAE que lleva a una retirada del medicamento en investigación

Momentos temporales de evaluación secundaria

1.; 2.; 3. and 7. Desde el momento basal durante el periodo de tratamiento (hasta la semana 25) 4. Momento desde que se comienza el tratamiento hasta alcanzar la primera respuesta de $\geq 50 \times 10^9/L$ (up to Week 25) 5. Momento basal al Día 8 6. Desde el momento basal a la primera terapia de rescate (hasta la semana 25) 8. y 9. Desde el momento basal hasta el final del periodo de seguimiento (hasta la semana 31)

Criterios de Inclusión

- El participante del estudio debe tener ≥ 18 años en el momento de la visita de selección. - El participante del estudio tiene un diagnóstico de trombocitopenia inmunitaria primaria (TIP) persistente (>3 meses) o crónica (>12 meses) en la visita de selección. - El participante del estudio tiene una intolerancia documentada o una respuesta insuficiente a uno o más ciclos adecuados de medicación para la TIP de tratamiento estándar antes de la selección.
- Los participantes del estudio deben tener antecedentes de respuesta a un tratamiento previo para la TIP. - Si se

toman fármacos inmunosupresores permitidos, el participante del estudio debe recibir dosis estables durante periodos de tiempo definidos antes del inicio (día 1). - El participante del estudio tiene antecedentes documentados de recuento plaquetario bajo ($<30 \times 10^9/l$) antes de la selección. - El participante del estudio tiene una medición de recuento plaquetario en la selección y al inicio (día 1) con un promedio de las dos $<30 \times 10^9/l$ y ningún recuento único puede ser $>35 \times 10^9/l$ (utilizando los laboratorios locales). -El participante del estudio tiene un frotis de sangre periférica compatible con TIP o antecedentes de ello. - Los participantes del estudio pueden ser hombres o mujeres: a. un participante de sexo masculino debe aceptar utilizar métodos anticonceptivos durante el periodo de tratamiento y durante al menos 3 meses después de la dosis final del tratamiento del estudio y abstenerse de donar esperma durante este periodo; b. una participante de sexo femenino es apta para participar si no está embarazada según lo confirmado por una prueba de embarazo en suero negativa o no tiene previsto quedarse embarazada durante la participación en el estudio, no está en periodo de lactancia y se aplica al menos una de las siguientes condiciones: no ser una mujer con capacidad de concebir O BIEN ser una mujer con capacidad de concebir que acepte seguir las indicaciones sobre métodos anticonceptivos durante el periodo del tratamiento y durante al menos 3 meses después de la dosis del tratamiento del estudio.

Criterios de Exclusión

- El participante tiene antecedentes de tromboembolia arterial o venosa (p. ej., accidente cerebrovascular, accidente isquémico transitorio, infarto de miocardio, trombosis venosa profunda o embolia pulmonar) en los 6 meses anteriores a la aleatorización o necesita tratamiento anticoagulante. - El participante del estudio tiene hemorragia clínicamente significativa que justifica el ajuste plaquetario inmediato (p. ej., menorragia con disminución significativa de la hemoglobina). - El participante del estudio tiene una hipersensibilidad conocida a cualquier componente del producto en investigación (PEI) o a fármacos comparativos (o un dispositivo en investigación) tal y como se indica en - El participante del estudio tiene evidencias de una causa secundaria de trombocitopenia inmunitaria de acuerdo a los últimos antecedentes médicos (p. ej., infección bacteriana o vírica, antecedentes médicos de leucemia, linfoma, inmunodeficiencia variable común, lupus eritematoso diseminado, enfermedad tiroidea autoinmunitaria) o es inmune a tratamientos farmacológicos (p. ej., heparina, quinina, antibióticos, anticonvulsivos) o el participante tiene citopenia inmunitaria múltiple, p. ej., síndrome de Evan. - El participante del estudio tiene una infección activa clínicamente relevante (p. ej., sepsis, neumonía o absceso) en opinión del investigador o tuvo una infección grave (que provocó la su hospitalización o requirió tratamiento antibiótico parenteral) en las 6 semanas anteriores a la administración del PEI. - El participante del estudio presenta una infección conocida por tuberculosis (TB), un riesgo elevado de contraer infección por TB o bien presenta infección por tuberculosis latente (ITBL) o padece actualmente infección por micobacterias no tuberculosas (IMBNT) o tiene antecedentes de ello. - El participante del estudio tiene antecedentes de trasplante de órganos importantes o de trasplante de células madre hematopoyéticas/médula ósea. - El participante del estudio ha experimentado hemorragia intracraneal en los 6 meses anteriores a la visita de selección. - El participante del estudio tiene antecedentes de trastornos de coagulopatía distintos de TIP. - El participante del estudio tiene una puntuación del estado funcional en la escala de Karnofsky $<60\%$ en la visita de selección. - El participante del estudio tiene actualmente una deficiencia de inmunoglobulina A (Iga) o una medición de Iga $<50\text{ mg/dl}$ o tiene antecedentes médicos de ello en la visita de selección. - El participante del estudio se ha sometido a una esplenectomía en los 2 años anteriores a la visita inicial.

Promotor

UCB Biopharma SRL Bélgica

Allée de la Recherche 60 1070 Brussels

Contact Person

UCB Biosciences GmbH - Clin Trial Reg & Results Disclosure

clinicaltrials@ucb.com

Monetary support: UCB Biopharma SRL|

Centros

No iniciado (15/07/2020)

COMPLEJO HOSPITALARIO UNIVERSITARIO A CORUÑA

Coruña, A

CORUÑA

Servicio de Hematología

No iniciado (15/07/2020)

HOSPITAL QUIRONSAZUD ZARAGOZA

Zaragoza

ZARAGOZA

Servicio de Hematología

Activo (13/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARI SON ESPASES

Palma de Mallorca

BALEARES

Servicio de Hematología

No iniciado (15/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Servicio de Hematología y Transfusión

No iniciado (15/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LA PAZ

Madrid

MADRID

Servicio de Hematología

No iniciado (22/04/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

Servicio de Hematología

Medicamentos

Rozanolixizumab Solución para perfusión
-
Principios Activos: ROZANOLIXIZUMAB
Huérfano Experimental

Sin resultados

A study to assess the efficacy, safety, and tolerability of rozanolixizumab in adult study participants with persistent or chronic primary immune thrombocytopenia (ITP)

State Recruiting	Type of participants Population especially vulnerable , Patient	Age Ranges Older than 64 , Adults (18 - 64)
Gender Both	Phases Phase III	Expected Participants 105
Results No results	Low level of intervention No	Rare disease Yes

Information

Identifier

2019-003451-11

Investigated Disease

Primary immune thrombocytopenia is a autoimmune disease which is characterized by an isolated low platelet count (thrombocytopenia) and the absence of other causes of thrombocytopenia.

Scientific Title

A Phase 3 Multicenter, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy, Safety, and Tolerability of Rozanolixizumab in Adult Study Participants With Persistent or Chronic Primary Immune Thrombocytopenia (ITP)

Rationale

Not provided

Main Objective

Demonstrate the clinical efficacy of rozanolixizumab in maintenance treatment in study participants with primary

immune thrombocytopenia (ITP)

Primary Endpoints

Durable Clinically Meaningful Platelet Response of $\geq 50 \times 10^9/L$ during the last 12 weeks

Temporary moments of secondary assessment

During the last 12 weeks (Week 13 to Week 25)

Secondary Objective

Assess the safety and tolerability of rozanolixizumab

Secondary Endpoints

1. Cumulative number of visits with Clinically Meaningful Platelet Response of $\geq 50 \times 10^9/L$
 2. Response defined as platelet count $\geq 30 \times 10^9/L$ and at least a 2-fold increase of the Baseline count confirmed on at least 2 separate occasions at two adjacent nominal visits at least 7 days apart, and absence of bleeding by visit
 3. Complete Response defined as platelet count $\geq 100 \times 10^9/L$ confirmed on at least 2 separate occasions at two adjacent nominal visits at least 7 days apart, and absence of bleeding by visit
 4. Time to Clinically Meaningful Platelet Response of $\geq 50 \times 10^9/L$: time from starting treatment to achievement of first response of $\geq 50 \times 10^9/L$
 5. Clinically Meaningful Platelet Response of $\geq 50 \times 10^9/L$ by Day 8
 6. Time to first rescue therapy
 7. Response defined as change from Baseline at or above the defined threshold for ITP Patient Assessment Questionnaire (ITPPAQ) Symptoms Score
 8. Occurrence of treatment-emergent adverse events (TEAEs)
 9. Occurrence of TEAEs leading to withdrawal of investigational medicinal product (IMP)
-

Temporary moments of secondary assessment

- 1.; 2.; 3. and 7. From Baseline during Treatment Period (up to Week 25)
 4. Time from starting treatment to achievement of first response of $\geq 50 \times 10^9/L$ (up to Week 25)
 5. Baseline to Day 8
 6. From Baseline to first rescue therapy (up to Week 25)
 8. and 9. From Baseline to end of Safety Follow-Up Period (up to Week 31)
-

Inclusion criteria

-Study participant must be ≥ 18 years of age at the time of the Screening Visit -Study participant has a diagnosis of persistent (>3 months duration) or chronic (>12 months duration) primary immune thrombocytopenia (ITP) at the Screening Visit -Study participant has documented intolerance or insufficient response to one or more appropriate

courses of standard of care ITP medication prior to Screening -Study participants must have prior history of a response to a previous ITP therapy -If taking allowed immunosuppressive drugs, study participant must be on stable doses during defined time periods prior to Baseline (Day 1) -Study participant has a documented history of low platelet count ($<30 \times 10^9/L$) prior to Screening -Study participant has a platelet count measurement at Screening and at Baseline (Day 1) with an average of the two $<30 \times 10^9/L$ and no single count may be $>35 \times 10^9/L$ (using local laboratories) -Study participant has a current or history of a peripheral blood smear consistent with ITP -Study participants may be male or female: a. A male participant must agree to use contraception during the Treatment Period and for at least 3 months after the final dose of study treatment and refrain from donating sperm during this period b. A female participant is eligible to participate if she is not pregnant as confirmed by a negative serum pregnancy test or not planning to get pregnant during the participation in the study, not breastfeeding, and at least one of the following conditions applies: Not a woman of childbearing potential (WOCBP) OR A WOCBP who agrees to follow the contraceptive guidance during the Treatment Period and for at least 3 months after the dose of study treatment

Exclusion criteria

-Participant has a history of arterial or venous thromboembolism (eg, stroke, transient ischemic attack, myocardial infarction, deep vein thrombosis or pulmonary embolism) within the 6 months prior to randomization or requires anticoagulant treatment -Study participant has clinically significant bleeding that warrants immediate platelet adjustment (eg, menorrhagia with significant drop in hemoglobin) -Study participant has a known hypersensitivity to any components of the investigational medicinal product (IMP) or comparative drugs (and/or an investigational device) as stated in this protocol -Study participant has evidence of a secondary cause of immune thrombocytopenia from the past medical history (eg, bacterial or viral infection, past medical history of leukemia, lymphoma, common variable immunodeficiency, systemic lupus erythematosus, autoimmune thyroid disease) or to drug treatments (eg, heparin, quinine, antimicrobials, anticonvulsants) or participant has a multiple immune cytopenia, eg, Evans syndrome -Study participant has a clinically relevant active infection (eg, sepsis, pneumonia, or abscess) in the opinion of the investigator, or had a serious infection (resulting in hospitalization or requiring parenteral antibiotic treatment) within 6 weeks prior to the dose of IMP -Study participant with a known tuberculosis (TB) infection, at high risk of acquiring TB infection, or latent tuberculosis infection (LTBI), or current/history of nontuberculous mycobacterial infection (NTMBI) -Study participant has a history of a major organ transplant or hematopoietic stem cell/marrow transplant -Study participant has experienced intracranial bleed in the last 6 months prior to the Screening Visit -Study participant has a history of coagulopathy disorders other than ITP -Study participant has a Karnofsky Performance Status rating $<60\%$ at the Screening Visit -Study participant with current or medical history of immunoglobulin A (IgA) deficiency, or a measurement of IgA <50 mg/dL at the Screening Visit -Study participant has undergone a splenectomy in the 2 years prior to the Baseline Visit

Sponsor

UCB Biopharma SRL Bélgica

Allée de la Recherche 60 1070 Brussels

Contact Person

UCB Biosciences GmbH - Clin Trial Reg & Results Disclosure

clinicaltrials@ucb.com

Monetary support: UCB Biopharma SRL|

Sites

not initialized (15/07/2020)

COMPLEXO HOSPITALARIO UNIVERSITARIO A CORUÑA

Coruña, A

CORUÑA

Servicio de Hematología

not initialized (15/07/2020)

HOSPITAL QUIRONSAUD ZARAGOZA

Zaragoza

ZARAGOZA

Servicio de Hematología

Active (13/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARI SON ESPASES

Palma de Mallorca

BALEARES

Servicio de Hematología

not initialized (15/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Servicio de Hematología y Transfusión

not initialized (15/07/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LA PAZ

Madrid

MADRID

Servicio de Hematología

not initialized (22/04/2020)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

Servicio de Hematología

Medication

Rozanolixizumab Solución para perfusión
-
Active Principles: ROZANOLIXIZUMAB
Orphan Experimental

No results