

Estudio para evaluar la eficacia y seguridad de un fármaco de estudio denominado vadadustat en el tratamiento de mantenimiento de la anemia en niños que no han recibido tratamiento con AEE.

Estado

No iniciado

Tipo de ParticipantesSujetos incapaces de otorgar consentimiento ,
Población especialmente vulnerable , Pacientes**Rangos de Edad**

Adolescentes , Niños , Lactantes y preescolar

Género

Ambos

Fases

Fase III

Participantes esperados

71

Resultados

Sin resultados

Bajo nivel intervención

No

Enfermedad rara

No

Cobertura geográficaMulticéntrico nacional, Multicéntrico
internacional**Ámbitos del ensayo**tratamiento, seguridad, eficacia,
farmacocinética, farmacodinámica, dosis**Tipo de promotor**

Comercial

Información

Identificador

2021-003994-72

Cod. Protocolo

AKB-6548-CI-0042

Área terapéutica

Enfermedades [C] - Hematología [C15]

Enfermedad investigada

Disminución de la hemoglobina en la sangre de los pacientes que padecen enfermedades renales que requieren o no diálisis

Título Científico

Estudio multicéntrico y abierto para evaluar la seguridad y la eficacia de vadadustat oral una vez al día para el tratamiento de pacientes pediátricos con anemia por nefropatía crónica sin exposición previa a fármacos

estimuladores de la eritropoyesis

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Evaluar la seguridad y la eficacia de la administración una vez al día de vadadustat en pacientes pediátricos con anemia por NC no tratados previamente con FEE.

VARIABLES DE EVALUACIÓN PRIMARIA

Criterios de valoración de la eficacia: Cambio medio en los valores de Hb entre la línea de base (promedio de Hb antes del tratamiento) y el período de evaluación primaria (promedio de Hb de las semanas 21 a 28)

Momentos temporales de evaluación primaria

Puntos de tiempo de eficacia : Semanas 21 a 28 inclusive

Objetivo Secundario

El objetivo secundario del ensayo es evaluar la Farmacocinética (PK) y la Farmacodinámica (PD) de vadadustat administrado en dosis QD en sujetos pediátricos con anemia de CKD

VARIABLES DE EVALUACIÓN SECUNDARIA

Criterios de valoración de la eficacia : *Tiempo para lograr una Hb $\geq 10,0$ g/dL *Proporción de sujetos con valores medios de Hb dentro del objetivo ($\geq 10,0$ a $< 12,0$ g/dL) durante el periodo de evaluación primaria (semanas 21 a 28) *Proporción de sujetos con valores medios de Hb dentro del objetivo ($\geq 10,0$ a $< 12,0$ g/dL) durante el Periodo de Extensión (Semanas 29 a 52) Criterios de valoración de seguridad y tolerabilidad: *Frecuencia y gravedad de los EA, EAS y abandono del estudio debido a EA. *Cambios clínicamente significativos con respecto al inicio del estudio en las constantes vitales, el peso corporal, la altura, las pruebas de laboratorio clínico (hematología, química sérica, índices de hierro) y el ECG. *Función suprarrenal evaluada mediante pruebas de estimulación de la hormona adrenocorticotrópica (ACTH) y/o niveles de cortisol matutino (AM) Criterios de valoración PK/PD: *Determinación de las concentraciones plasmáticas de vadadustat y sus metabolitos para la estimación de los parámetros PK. Puede construirse un modelo de PK poblacional (POPPK) y, si es así, informarse por separado. *Cambios en la EPO sérica, el recuento de reticulocitos y la Hb como índices de la actividad del HIF. Criterios de valoración exploratorios: *Cambio medio desde el inicio hasta el periodo de evaluación primaria y la visita de fin de tratamiento (EOT) o la visita de finalización temprana (ET) en las puntuaciones del núcleo genérico del Pediatric Quality of Life Inventory™ (PedsQL) 4.0 para todos los sujetos y/o los padres/tutores legales y para las puntuaciones del módulo de enfermedad renal terminal (ESRD) del PedsQL 3.0 puntuaciones en sujetos en diálisis y/o padres/tutores legales *Cambio en los biomarcadores hepcidina y factor de crecimiento endotelial vascular (VEGF)

Momentos temporales de evaluación secundaria

Criterios de valoración de la eficacia : Semanas 21 a 52 inclusive

Criterios de Inclusión

*Diagnóstico de anemia de enfermedad renal crónica (ERC) *Diagnóstico de ERC no dependiente de diálisis (NDD) con una tasa de filtración glomerular estimada mayor de (>) 10 y menor de (<) 60 mililitros/minuto/1,73 metros² (mL/min/1,73 m²) o diagnóstico de ERC dependiente de diálisis (DD) *Hemoglobina (Hb) media de cribado <10,0 gramos/decilitros (g/dL) *Saturación de transferrina >= 20%.

Criterios de Exclusión

- *Anemia debida a una causa distinta de la ERC
- *Hemorragia activa o pérdida de sangre clínicamente significativa reciente
- *Historia de anemia de células falciformes, síndromes mielodisplásicos, fibrosis de la médula ósea, neoplasia hematológica, mieloma, anemia hemolítica, talasemia o aplasia pura de células rojas
- *Transfusión de glóbulos rojos en un plazo de 4 semanas
- *Nivel de albúmina sérica inferior a 2,5 g/dL
- *Hipertensión no controlada
- *Malignidad activa o tratamiento por malignidad en los últimos 2 años antes del cribado
- *Evidencia de sobrecarga de hierro o diagnóstico de hemocromatosis
- *Hipersensibilidad conocida a vadadustat o a cualquier excipiente del comprimido de vadadustat

Calendario

(Última actualización: 06/06/2022)

Autorización 31/03/2022	Inicio de Ensayo No aportado	Inclusión Primer Paciente No aportado	Interrumpido No aportado	Reiniciado No aportado
--	---	--	---	---

Fin de reclutamiento No aportado	Fin prematuro (España) No aportado	Fin prematuro (Global) No aportado	Fin del ensayo en España No aportado	Fin del ensayo global No aportado
---	---	---	---	--

Promotor

Akebia Therapeutics, Inc. Estados Unidos

245 First Street, Suite 1400 02142 Cambridge, MA

Contact Person

Medpace - Clinical Trial Management

001 513 579 9911

001 513 579 0444

regsubmissions@medpace.com

Monetary support: Akebia Therapeutics, Inc.]

Ceim

CEIm Hospital Universitario 12 de Octubre

Glorieta de Málaga, S/N 28041 Madrid

ceic@h12o.es

917792613

Centros

No iniciado (31/03/2022)

HOSPITAL CLINICO UNIVERSITARIO DE SANTIAGO

Santiago de Compostela

CORUÑA

No iniciado (31/03/2022)

HOSPITAL DE SANT JOAN DE DEU.

Esplugues de Llobregat

BARCELONA

No iniciado (31/03/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

No iniciado (31/03/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

Medicamentos

Vadadustat

Comprimido recubierto con película

-

Principios Activos: VADADUSTAT|

Experimental

Vadadustat

Comprimido recubierto con película

-

Principios Activos: VADADUSTAT|

Experimental

Sin resultados

A study to evaluate the effectiveness and safety of a study drug called vadadustat in the maintenance treatment of anemia for children, naïve to ESA therapy

State

Not initiated

Type of participants

Incapable subjects of giving consent ,
Population especially vulnerable , Patient

Age Ranges

Teens , Children , Infants and preschool

Gender

Both

Phases

Phase III

Expected Participants

71

Results

No results

Low level of intervention

No

Rare disease

No

Geographic coverage

National multicenter, International multicenter

Areas of the study

treatment, safety, effectiveness,
pharmacokinetics, pharmacodynamics, dose

Sponsor type

Commercial

Information

Identifier

2021-003994-72

Protocol Code

AKB-6548-CI-0042

Therapeutic area

Diseases [C] - Blood and lymphatic diseases [C15]

Investigated Disease

Decrease of hemoglobin in the blood of patients suffering from kidney disease who require dialysis or not

Scientific Title

A MULTICENTER, OPEN-LABEL STUDY TO EVALUATE THE SAFETY AND EFFICACY OF ONCE DAILY ORAL VADADUSTAT FOR THE TREATMENT OF PEDIATRIC SUBJECTS WITH ANEMIA OF CHRONIC KIDNEY DISEASE NAÏVE TO ERYTHROPOIESIS-STIMULATING AGENTS

Rationale

Not provided

Main Objective

The primary objective of the trial is to assess the safety and efficacy of once daily (QD) dosing of vadadustat for the treatment of pediatric subjects with anemia of Chronic Kidney Disease (CKD) naïve to ESA treatment.

Primary Endpoints

Efficacy endpoints: Mean change in Hb values between Baseline (average pretreatment Hb) and the Primary Evaluation Period (average Hb from Weeks 21 to 28)

Temporary moments of secondary assessment

Efficacy timepoints : Weeks 21 to 28 inclusive

Secondary Objective

The secondary objective of the trial is to assess the Pharmacokinetics (PK) and Pharmacodynamics (PD) of vadadustat administered QD dosing in pediatric subjects with anemia of CKD

Secondary Endpoints

Efficacy endpoints : *Time to achieve Hb ≥ 10.0 g/dL *Proportion of subjects with mean Hb values within the target (≥ 10.0 to < 12.0 g/dL) during the Primary Evaluation Period (Weeks 21 to 28) *Proportion of subjects with mean Hb values within the target (≥ 10.0 to < 12.0 g/dL) during the Extension Period (Weeks 29 to 52) Safety and Tolerability endpoints: *Frequency and severity of AEs, SAEs, and discontinuation from the study due to AEs *Clinically significant changes from Baseline on vital signs, body weight, height, clinical laboratory tests (hematology, serum chemistry, iron indices), and ECG *Adrenal function assessed by adrenocorticotrophic hormone (ACTH) stimulation testing and/or morning (AM) cortisol levels PK/PD endpoints: *Determination of plasma concentrations of vadadustat and metabolites for estimation of PK parameters. A population PK (POPPK) model may be constructed and, if so, reported separately. *Changes in serum EPO, reticulocyte count, and Hb as indices of HIF activity Exploratory endpoints: *Mean change from Baseline to Primary Evaluation Period and End of Treatment (EOT) Visit or Early Termination (ET) Visit in Pediatric Quality of Life Inventory™ (PedsQL) 4.0 Generic Core scores for all subjects and/or parent/legal guardian and for PedsQL 3.0 endstage renal disease (ESRD) Module scores in dialysis subjects and/or parent/legal guardian *Change in biomarkers hepcidin and vascular endothelial growth factor (VEGF)

Temporary moments of secondary assessment

Efficacy endpoints : Weeks 21 to weeks 52 inclusive

Inclusion criteria

*Diagnosis of anemia of chronic kidney disease (CKD) *Diagnosis of non-dialysis-dependent (NDD) CKD with an estimated glomerular filtration rate of greater than (>) 10 and less than (<) 60 milliliters/minute/1.73 meters² (mL/min/1.73 m²) or diagnosis of dialysis dependent (DD) CKD *Mean screening hemoglobin (Hb) <10.0 grams/deciliters (g/dL) *Transferrin Saturation >= 20%

Exclusion criteria

- *Anemia due to a cause other than CKD
- *Active bleeding or recent clinically significant blood loss
- *History of sickle cell disease, myelodysplastic syndromes, bone marrow fibrosis, hematologic malignancy, myeloma, hemolytic anemia, thalassemia, or pure red cell aplasia
- *Red Blood Cells transfusion within 4 weeks
- *Serum albumin level less than 2.5 g/dL
- *Uncontrolled hypertension
- *Active malignancy or treatment for malignancy within the past 2 years prior to Screening
- *Evidence of iron overload or diagnosis of hemochromatosis
- *Known hypersensitivity to vadadustat or any excipients in vadadustat tablet

Calendar

(Last Update: 06/06/2022)

Authorization 31/03/2022	Start of Trial Not aported	First patient inclusion Not aported	Halted Not aported	Restarted Not aported
------------------------------------	--------------------------------------	---	------------------------------	---------------------------------

End of recruitment Not aported	Premature end (Spain) Not aported	Premature End (Global) Not aported	Trial end (Spain) Not aported	Trial end (Global) Not aported
--	---	--	---	--

Sponsor

Akebia Therapeutics, Inc. Estados Unidos

245 First Street, Suite 1400 02142 Cambridge, MA

Contact Person

Medpace - Clinical Trial Management

001 513 579 9911

001 513 579 0444

regsubmissions@medpace.com

Monetary support: Akebia Therapeutics, Inc.]

Ceim

CEIm Hospital Universitario 12 de Octubre

Glorieta de Málaga, S/N 28041 Madrid

ceic@h12o.es

917792613

Sites

not initialized (31/03/2022)

HOSPITAL CLINICO UNIVERSITARIO DE SANTIAGO

Santiago de Compostela

CORUÑA

not initialized (31/03/2022)

HOSPITAL DE SANT JOAN DE DEU.

Esplugues de Llobregat

BARCELONA

not initialized (31/03/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

not initialized (31/03/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

Medication

Vadadustat

Comprimido recubierto con película

-

Active Principles: VADADUSTAT|

Experimental

Vadadustat

Comprimido recubierto con película

-

Active Principles: VADADUSTAT|

Experimental

No results