

Study of ALXN1210 compared to eculizumab in PNH patients who have never been treated with a complement inhibitor.

State	Type participants	Age Ranges
Recruiting	Population especially vulnerable , Patient	Older than 64 , Adults (18 - 64)
Gender	Phases	Participants
	Phase III	214

Information

Identifier

2016-002025-11

Investigated Disease

Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)

Scientific Title

A Phase 3, Randomized, Open-Label, Active-Controlled Study of ALXN1210 Versus Eculizumab in Complement Inhibitor-Naïve Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)

Summary

Not provided

Main Objective

The purpose of this study is to assess ALXN1210 compared to eculizumab in adult patients with PNH who have never been treated with a complement inhibitor.

Primary Endpoints

- Percentage of patients who achieve transfusion avoidance (TA)
- Normalization of lactate dehydrogenase (LDH) levels

Temporary moments of secondary assessment

26 weeks

Secondary Objective

- safety and tolerability of ALXN1210
- efficacy - PK/PD and immunogenicity
- long-term safety and efficacy

Secondary Endpoints

- Percentage change from baseline in lactate dehydrogenase (LDH) levels - Change from baseline in quality of life as assessed by the Functional Assessment of Chronic Illness Therapy (FACIT)-Fatigue - Percentage of patients with breakthrough hemolysis - Percentage of patients with stabilized hemoglobin

Temporary moments of secondary assessment

26 weeks

Criteria of inclusion

1. Male or female \geq 18 years of age
2. PNH diagnosis confirmed by documented by high-sensitivity flow cytometry
3. Presence of 1 or more of the following PNH-related signs or symptoms within 3 months of Screening: fatigue, hemoglobinuria, abdominal pain, shortness of breath (dyspnea), anemia (hemoglobin <10 g/dL), history of a major adverse vascular event (including thrombosis), dysphagia, or erectile dysfunction; or history of pRBC transfusion due to PNH.
4. LDH level \geq $1.5 \times$ ULN at screening.
5. All patients must be vaccinated against meningococcal infections within 3 years prior to, or at the time of, initiating study drug
6. Female patients of childbearing potential and male patients with female partners of childbearing potential must follow protocol-specified guidance for avoiding pregnancy while on treatment and for 8 months after last dose of study drug.
7. Patients must be willing and able to give written informed consent and to comply with all study visits and procedures

Criteria of exclusion

1. Current or previous treatment with a complement inhibitor.
2. History of bone marrow transplantation.
3. Body weight < 40 kilograms.
4. Females who plan to become pregnant or are currently pregnant or breastfeeding. Females who have a positive pregnancy test result at Screening or on Day 1.
5. Participation in another interventional clinical study or use of any experimental therapy within 30 days before initiation of study drug on Day 1 in this study or within 5 half-lives of that investigational product, whichever is greater.
6. History of or ongoing major cardiac, pulmonary, renal, endocrine, or hepatic disease that, in the opinion of the Investigator or Sponsor, precludes the patient's participation in an investigational clinical trial.
7. Unstable medical conditions (eg, myocardial ischemia, active gastrointestinal bleed, severe congestive heart failure, anticipated need for major surgery within 6 months of randomization, coexisting chronic anemia unrelated to PNH)

Calendar

Authorization 16/01/2017	Start of Test 09/02/2017	End of test No aportado	Last Update 02/03/2017
------------------------------------	------------------------------------	-----------------------------------	----------------------------------

Sponsor

Alexion Pharmaceuticals Incorporated Estados Unidos

100 College Street CT 06510 New Haven

Contact Person

Alexion Pharma Spain - Rosa Enrique

+34 93 272 3019

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: Alexion Pharmaceuticals Incorporated|

Centers

Inactive

Hospital Clínic i Provincial de Barcelona
Barcelona
BARCELONA
Servicio de Hematología

Inactive

HOSPITAL CLÍNICO SAN CARLOS
Madrid
MADRID
Servicio de Hematología

Inactive

Hospital Universitari Germans Trias i Pujol de Badalona
Badalona

Inactive

HOSPITAL UNIVERSITARIO PUERTA DE HIERRO MAJADAHONDA
Majadahonda

BARCELONA

Servicio de Hematología

MADRID

Servicio de Hematología

Medication

ALXN1210

Concentrado para solución para perfusión

Active Principles: Fc- and CDR-modified humanised monoclonal antibody against C5]

Orphan

Experimental

Soliris

Concentrado para solución para perfusión

Active Principles: ECULIZUMAB]

Orphan

Comparator

Estudio de ALXN1210 frente a eculizumab en pacientes adultos con HPN sin tratamiento previo con inhibidores del complemento

Estado Reclutando	Tipo Participantes Población especialmente vulnerable , Pacientes	Rangos de Edad Mayores de 64 , Adultos (18 - 64)
Género	Fases Fase III	Participantes 214

Información

Identificador

2016-002025-11

Enfermedad investigada

Hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)

Título Científico

Estudio en fase III, aleatorizado, abierto y controlado con principio activo de ALXN1210 frente a eculizumab en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) sin tratamiento previo con inhibidores del complemento

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

El objetivo de este estudio es evaluar ALXN1210 en comparación con el eculizumab en pacientes adultos con HPN que nunca han sido tratados con un inhibidor del complemento.

Variables de Evaluación Primaria

- Porcentaje de pacientes que consiguen evitar la transfusión (ET)
- Normalización de los niveles de la lactato deshidrogenasa (LDH)

Momentos temporales de evaluación primaria

26 semanas

Objetivo Secundario

- Seguridad y tolerabilidad de ALXN1210
- Eficacia
- FC/FD e inmunogenética
- Seguridad y eficacia a largo plazo

Variables de Evaluación Secundaria

- Cambio porcentual de los niveles de LDH desde el inicio
- Cambio en la calidad de vida, evaluada a través de la escala de fatiga-evaluación funcional del tratamiento de enfermedades crónicas (Functional Assessment of Chronic Illness Therapy, FACIT)
- Proporción de pacientes con hemólisis intercurrente, - Proporción de pacientes con hemoglobina estabilizada

Momentos temporales de evaluación secundaria

26 semanas

Criterios de Inclusión

1. Varones o mujeres de 18 años de edad o mayores
2. Diagnóstico documentado de HPN confirmado mediante citometría de flujo de alta sensibilidad
3. Presencia de 1 o más de los siguientes signos o síntomas relacionados con la HPN en los 3 meses anteriores a la selección: fatiga, hemoglobinuria, dolor abdominal, dificultad para respirar (disnea), anemia (hemoglobina < 10 g/dl), antecedentes de un acontecimiento adverso vascular importante (incluida trombosis), disfagia o disfunción eréctil o antecedentes de transfusión de CGR como consecuencia de HPN.
4. Nivel de LDH \leq 1,5 veces el LSN en la selección.
5. Se debe vacunar a todos los pacientes contra la meningitis meningocócica durante los 3 años antes de, o en el momento de, iniciar el fármaco del estudio.
6. Las pacientes en edad fértil y los pacientes con parejas en edad fértil deben seguir las recomendaciones especificadas en el protocolo para evitar el embarazo durante el tratamiento y durante 8 meses después de la última dosis del fármaco del estudio.
7. Los pacientes deben estar dispuestos y ser capaces de dar su consentimiento informado por escrito y cumplir con todas las visitas y procedimientos del estudio

Criterios de Exclusión

1. Tratamiento actual o previo con un inhibidor del complemento.
2. Antecedentes de trasplante de médula ósea.
3. Peso corporal < 40 kg.
4. Mujeres que piensen quedarse embarazadas o que estén embarazadas o en periodo de lactancia en ese momento. Mujeres que tienen un resultado positivo en la prueba de embarazo en la selección o el día 1.
5. Participación en otro estudio terapéutico intervencionista o uso de cualquier tratamiento experimental en los 30 días previos al inicio del fármaco del estudio el día 1 en este estudio, o durante 5 semividas del producto en fase de investigación, lo que sea mayor
6. Antecedentes de enfermedad cardíaca, pulmonar, renal, endocrina o hepática importante o en curso que, en opinión del investigador o del promotor, excluye la participación del paciente en un ensayo clínico en fase de investigación.
7. Trastornos médicos inestables (p. ej., isquemia miocárdica, hemorragia gastrointestinal activa, insuficiencia

cardíaca congestiva grave, necesidad prevista de cirugía mayor en el plazo de 6 meses con respecto a la aleatorización, coexistencia de anemia crónica no relacionada con HPN)

Calendario

Autorización 16/01/2017	Inicio de Ensayo 09/02/2017	Fin de ensayo No aportado	Última actualización 02/03/2017
-----------------------------------	---------------------------------------	-------------------------------------	---

Promotor

Alexion Pharmaceuticals Incorporated Estados Unidos

100 College Street CT 06510 New Haven

Contact Person

Alexion Pharma Spain - Rosa Enrique

+34 93 272 3019

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: Alexion Pharmaceuticals Incorporated|

Centros

Inactivo

Hospital Clínic i Provincial de Barcelona
Barcelona
BARCELONA

Servicio de Hematología

Inactivo

HOSPITAL CLÍNICO SAN CARLOS
Madrid
MADRID

Servicio de Hematología

Inactivo

Hospital Universitari Germans Trias i Pujol de Badalona

Badalona

BARCELONA

Servicio de Hematología

Inactivo

HOSPITAL UNIVERSITARIO PUERTA DE HIERRO MAJADAHONDA

Majadahonda

MADRID

Servicio de Hematología

Medicamentos

ALXN1210

Concentrado para solución para perfusión

Principios Activos: Fc- and CDR-modified humanised monoclonal antibody against C5]

Huérfano

Experimental

Soliris

Concentrado para solución para perfusión

Principios Activos: ECULIZUMAB]

Huérfano

Comparador