

Hemofilia A

BH29884: Un estudio para evaluar la eficacia, seguridad y farmacocinética de emicizumab profiláctico versus no profilaxis en participantes con hemofilia A con inhibidores (HAVEN1)

Un estudio para evaluar la eficacia, seguridad y farmacocinética de emicizumab profiláctico versus no profilaxis en participantes con hemofilia A con inhibidores

Trial Status
Finalizado

Trial Runs In
14 Countries

Trial Identifier
NCT02622321 2015-002866-21
HAVEN1 BH29884

La información se obtuvo directamente de sitios web de registros públicos, como ClinicalTrials.gov, EuClinicalTrials.eu, ISRCTN.com, etc., y no ha sido editada.

Official Title:

Ensayo clínico de fase III multicéntrico, abierto y de un solo brazo para evaluar la eficacia, la seguridad y la farmacocinética de la administración subcutánea de emicizumab una vez a la semana en pacientes pediátricos con hemofilia A con inhibidores.

Trial Summary:

Para los pacientes con hemofilia A a los que se les ha diagnosticado la presencia de inhibidores, la erradicación permanente de los inhibidores es el objetivo último. Dicho objetivo se puede alcanzar mediante la administración intensiva de FVIII durante un elevado número de meses con inducción de inmunotolerancia (IIT), un método que resulta exitoso en aproximadamente un 60%-80% de los pacientes con inhibidores tratados. Pero aquellos pacientes con inhibidores que no puedan erradicarlos o que no sean candidatos para IIT deberán emplear agentes by-pass para tratar o prevenir las hemorragias. Desafortunadamente, el efecto hemostático de los agentes by-pass es inestable en comparación con el de los concentrados de FVIII. Dado que la gestión de la hemostasia puede resultar compleja en adultos y niños con inhibidores, existe la necesidad urgente de disponer de fármacos que sean más fiables a nivel de eficacia, presenten una mayor semivida y reduzcan la carga del tratamiento para prevenir las hemorragias en pacientes con hemofilia A con inhibidores. Los datos clínicos y preclínicos relacionados con RO5534262 disponibles hasta la fecha apoyan la evaluación positiva de riesgos y beneficios.

Dada la importante necesidad médica no satisfecha en pacientes con hemofilia A con inhibidores de FVIII y evaluación positiva de riesgos y beneficios, se indica aquí el inicio de un estudio de confirmación de Fase III más amplio.

NCT02622321 2015-002866-21 HAVEN1 BH29884
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender All	Age #12 Years	Healthy Volunteers No
-----------------------------	--------------------------------	--

Inclusion Criteria:

- Niños < 12 años de edad en el momento de obtener el consentimiento informado y además: Pacientes de 12 a 17 años de edad que pesen < 40 kg en el momento del consentimiento informado (Solo Cohorte A); Podrán participar pacientes < 2 años de edad únicamente después de cumplir los criterios establecidos en el protocolo para el análisis intermedio de los datos (Solo Cohorte A).
- Peso corporal > 3 kg en el momento del consentimiento informado.
- Voluntad y posibilidad de cumplir con las visitas programadas, los planes de tratamiento, las evaluaciones analíticas y otros procedimientos del estudio, incluida la cumplimentación de los cuestionarios sobre resultados comunicados por los pacientes (RCP) aplicables.
- Los cuidadores de todos los niños deberán tener la voluntad y posibilidad de cumplir con todos los procedimientos del estudio.
- Diagnóstico de hemofilia A congénita de cualquier intensidad y antecedentes documentados de títulos altos de inhibidores (esto es, # 5 BU).
- Necesidad de tratamiento con agentes by pass.
- En pacientes ≥ 2 años de edad (Solo Cohorte A): Si reciben un régimen de agentes by pass episódicos: ABR de ≥ 6 ; O si reciben un régimen profiláctico con agentes by pass: control insuficiente o imposibilidad de colocar un dispositivo de acceso venoso central (DAVC) por motivos médicos o porque el investigador lo considere poco seguro.
- En pacientes < 2 años de edad: que el investigador considere que existe una necesidad médica importante no atendida.
- Función hematológica, hepática y renal adecuada.
- Mujeres en edad fértil que tengan un resultado negativo en la prueba de embarazo en suero y que se comprometen a no mantener relaciones sexuales o a utilizar métodos anticonceptivos especificados en el estudio.

Exclusion Criteria:

- Trastorno hemorrágico congénito o adquirido distinto de hemofilia A.
- Tratamiento actual (o previsto durante el estudio) de inducción de tolerancia inmunitaria (ITI) o tratamiento profiláctico con FVIII durante el estudio. Podrán participar pacientes a la espera de iniciar un tratamiento ITI Podrán participar pacientes que no hayan respondido a un tratamiento ITI, con un período de descanso farmacológico de 72 horas antes de la administración de la primera dosis de emicizumab.
- Tratamiento administrado en el pasado (en los últimos 12 meses) o en el presente para enfermedad tromboembólica (con la excepción de trombosis previa asociada a un catéter que no esté recibiendo en ese momento tratamiento antitrombótico) o signos de enfermedad tromboembólica.

ForPatients

by Roche

- Otras enfermedades (esto es, algunas enfermedades autoinmunitarias [p. ej., lupus eritematoso sistémico], enfermedades cardiovasculares) que puedan aumentar el riesgo de hemorragia o trombosis.
- Infección conocida por el VIH, el virus de la hepatitis B (VHB) o el virus de la hepatitis C (VHC).
- Pacientes con alto riesgo de microangiopatía trombótica (por ejemplo, que tengan una historia médica previa o familiar de TMA), a criterio del investigador.
- Uso de inmunomoduladores sistémicos (como interferón o corticosteroides) en el momento del reclutamiento o uso previsto durante el período del estudio.
- Cirugía prevista (excluidos procedimientos menores como extracciones dentales o incisiones y drenajes) durante el estudio.
- Incapacidad (o falta de disposición del cuidador) para recibir (o permitir la administración de) sangre o hemoderivados (o cualquier tratamiento habitual para una condición que amenaza la vida).