

Hemofilia A

MO39129: Estudio para evaluar la seguridad y tolerabilidad de emicizumab profiláctico en pacientes con hemofilia A con inhibidores. (STASEY)

Un estudio para evaluar la seguridad y tolerabilidad de Emicizumab profiláctico en paciente con hemofilia A con inhibidores.

Trial Status
Finalizado

Trial Runs In
25 Countries

Trial Identifier
NCT03191799 2016-004366-25
STASEY MO39129

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:

Estudio en fase IIIb multicéntrico, con un solo grupo de tratamiento, para evaluar la seguridad y tolerancia del tratamiento profiláctico con emicizumab en pacientes con hemofilia A que presentan inhibidores.

Trial Summary:

Este es un estudio de fase IIIb, de un solo brazo, abierto, multicéntrico para evaluar la seguridad y la tolerabilidad de emicizumab en participantes con hemofilia A congénita que han documentado inhibidores contra el Factor VIII (FVIII) al momento del reclutamiento. En este estudio se inscribirán aproximadamente 200 participantes, mayores de 12 años y se espera que se incluyan en aproximadamente 85 centros en todo el mundo. Los participantes recibirán una dosis semanal inicial de emicizumab profiláctico por vía subcutánea durante 4 semanas, seguido de una dosis de mantenimiento semanal por vía subcutánea durante el resto del período de tratamiento de 2 años.

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Fase III
Phase

NCT03191799 2016-004366-25 STASEY MO39129
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
All

Age
12 Years

Healthy Volunteers
No

Inclusion Criteria:

- Según el criterio del investigador, disposición y capacidad para cumplir con las visitas programadas, los planes del tratamiento, las pruebas de laboratorio y otros procedimientos del estudio, incluidos los cuestionarios de resultados notificados por el paciente (PRO) y los diarios de sangrado mediante el uso de un dispositivo electrónico o papel.
- Mayores de 12 años en el momento del consentimiento informado
- Diagnóstico de la hemofilia A congénita con inhibidores persistentes contra el FVIII
- Tratamiento documentado con agentes circunvaladores o concentrados del FVIII en los últimos 6 meses (a demanda o profilaxis). La profilaxis debe discontinuarse como máximo un día antes de comenzar a usar emicizumab
- Función hematológica, hepática y renal adecuada.
- Para mujeres con capacidad de concebir: acuerdo de permanecer en abstinencia (abstenerse de tener relaciones heterosexuales) o utilizar un método anticonceptivo altamente eficaz con una tasa de falla de < 1 % por año durante el periodo del tratamiento y durante al menos cinco vidas medias de eliminación (24 semanas) después de la última dosis de emicizumab

Exclusion Criteria:

- Trastorno hemorrágico hereditario o adquirido, diferente a la hemofilia A
- • Terapia de inducción de tolerancia inmunitaria (ITI) en curso (o planea recibirla durante el estudio) (los esquemas de profilaxis con FVIII y/o agentes circunvaladores deben discontinuarse antes del reclutamiento). Los pacientes que reciban terapia de ITI serán elegibles luego de completar un período de reposo farmacológico de 72 horas antes de la primera administración de emicizumab
- Antecedentes de abuso de drogas ilícitas o alcohol dentro de los 12 meses anteriores a la selección, según el criterio del investigador
- Alto riesgo de microangiopatía trombótica (TMA) (p. ej., tiene antecedente médico o familiar previo de TMA), según el criterio del investigador
- Tratamiento previo (en los últimos 12 meses) o actual para la enfermedad tromboembólica (a excepción de la trombosis previa asociada a catéter, para la cual no hay tratamiento antitrombótico en curso) o signos actuales de enfermedad tromboembólica
- Otras afecciones (p. ej., algunas enfermedades autoinmunitarias) que pueden aumentar el riesgo de sangrado o trombosis
- Antecedentes de reacción de hipersensibilidad clínicamente significativa asociada con terapias con anticuerpos monoclonales o componentes de la inyección de emicizumab
- Infección por el virus de inmunodeficiencia humana (VIH) conocida con un recuento de CD4 < 200 células/ μ L dentro de los 6 meses previos a la selección
- Uso de inmunomoduladores sistémicos (p. ej., interferón o rituximab) durante el estudio o el uso planificado durante el estudio, a excepción de terapia antirretroviral
- Enfermedad concomitante, tratamiento o alteración en las pruebas de laboratorio clínico que podrían interferir con la realización del estudio o que, en opinión del investigador o Patrocinador, impiden la participación segura del paciente en la finalización del estudio o impiden la interpretación de los resultados del estudio
- Recepción de: Emicizumab en un estudio de investigación previo; un medicamento en investigación para tratar o reducir el riesgo de hemorragias hemofílicas dentro de las cinco vidas medias de la última administración del medicamento; un medicamento en investigación no relacionado con la hemofilia en los últimos 30 días o cinco vidas medias, lo que sea más corto; o cualquier medicamento concomitante en investigación.
- Embarazo o lactancia o intención de quedar embarazada durante el estudio
- Resultado positivo en la prueba de embarazo en suero dentro de los 7 días previos al inicio con emicizumab (solo mujeres)