

Esclerosis múltiple recurrente

**CN45847 Estudio para ver cómo se procesa el fenebrutinib en el cuerpo, qué tan bien funciona para prevenir los signos de la esclerosis múltiple recurrente, y qué tan seguro es en niños y adolescentes con esclerosis múltiple recurrente**

Estudio abierto, de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, los efectos farmacodinámicos, la seguridad y la tolerabilidad del fenebrutinib en niños y adolescentes con esclerosis múltiple recurrente

<b>Trial Status</b> Aceptando Pacientes	<b>Trial Runs In</b> 7 Countries	<b>Trial Identifier</b> NCT07161258 2024-519800-28-00 CN45847
--	-------------------------------------	---

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

**Official Title:**

Estudio abierto, de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, los efectos farmacodinámicos, la seguridad y la tolerabilidad del fenebrutinib en niños y adolescentes con esclerosis múltiple recurrente

**Trial Summary:**

Este estudio abierto de un solo grupo evaluará los efectos farmacocinéticos y farmacodinámicos de fenebrutinib en niños y adolescentes con RMS de entre 10 y <18 años. El estudio consta de un periodo de exploración de dosis y un periodo de extensión opcional. Los participantes elegibles pueden optar por continuar el tratamiento con fenebrutinib en el periodo de extensión opcional tras completar el periodo de exploración de dosis.

<b>Hoffmann-La Roche</b> Sponsor	<b>Fase 2</b> Phase
<b>NCT07161258 2024-519800-28-00 CN45847</b> Trial Identifiers	

**Eligibility Criteria:**

<b>Gender</b> All	<b>Age</b> #10 Years & # 17 Years	<b>Healthy Volunteers</b> No
----------------------	--------------------------------------	---------------------------------

## **1. ¿Por qué es necesario este estudio?**

La esclerosis múltiple (EM) es una enfermedad en la que las defensas naturales del organismo (el sistema inmunitario) atacan el revestimiento que protege las fibras nerviosas del cerebro y la médula espinal. Esto conlleva problemas de comunicación entre el cerebro y el resto del cuerpo. En la esclerosis múltiple recurrente (EMR), los signos o síntomas de la EM reaparecen después de haber mejorado durante un tiempo. Esto se conoce como “recaída”. Esto puede causar deterioro físico y discapacidad, y la pérdida gradual de funciones cerebrales como pensar, recordar y razonar hasta el punto de interferir con las actividades diarias. Se necesitan nuevos medicamentos que ayuden a prevenir el empeoramiento de la enfermedad.

En este estudio, se está probando un medicamento llamado fenebrutinib. Se está desarrollando para tratar la EMR. Fenebrutinib es un medicamento experimental. Esto significa que las autoridades sanitarias (como la Administración de Medicamentos y Alimentos de los EE. UU. y la Agencia Europea de Medicamentos) no han aprobado el fenebrutinib para el tratamiento de la EMR.

Este estudio tiene como objetivo comprender lo que le ocurre al fenebrutinib una vez dentro del cuerpo, ver qué tan bien funciona para prevenir los signos de EMR en el cerebro y evaluar su seguridad (en distintas dosis), en niños y adolescentes. Este estudio ayudará a determinar la dosis correcta del fenebrutinib que se debe utilizar en niños y adolescentes con EM en posibles estudios futuros.

## **2. ¿Quién puede participar en el estudio?**

Los niños y adolescentes de 10 a 17 años con EMR pueden participar en el estudio si se les han administrado todas las vacunas infantiles recomendadas. Pueden tener una puntuación de la Escala ampliada del estado de discapacidad (Expanded Disability Status Scale, EDSS) de entre 0 y 5.5. La EDSS mide los cambios en el nivel de discapacidad de una persona a lo largo del tiempo. Las personas con una puntuación en la escala EDSS de 5.5 o menos pueden caminar 100 metros sin utilizar productos de apoyo para la movilidad ni necesidad de descansar.

Los niños y adolescentes que participen en el estudio también deben haber tenido uno o más de los siguientes:

- 2 recaídas en los últimos 2 años, O
- 1 recaída en el último año, O
- 1 área de inflamación en el cerebro, conocida como “lesión activa”, visible en una resonancia magnética (RM), en los últimos 6 meses

Es posible que los niños y adolescentes no puedan participar en este estudio si tienen un tipo de EM llamada “EM primaria progresiva” o “EM secundaria progresiva no activa”. Las personas que hayan recibido determinados tratamientos anteriormente, como fenebrutinib o medicamentos similares, o que hayan tenido determinadas infecciones, antecedentes de cáncer u otras enfermedades, incluida una enfermedad cerebral o de la médula espinal no podrán participar. Mujeres que estén embarazadas o en período de lactancia no podrán participar en el estudio.

### **3. ¿En qué consiste este estudio?**

Los niños y adolescentes se someterán a una selección para comprobar si pueden participar en el estudio. El período de selección tendrá lugar 1 mes antes del inicio del tratamiento.

A todas las personas que se incorporen a este estudio, se les administrará fenebrutinib en comprimidos (por vía oral) todos los días. Después de 3 meses de tratamiento, el médico del estudio y el participante decidirán juntos si deben continuar en la siguiente parte del estudio, lo que se conoce como «extensión opcional». La parte de extensión opcional del estudio dura casi 2 años.

Se trata de un estudio abierto. Esto significa que todas las personas implicadas, incluidos el participante y el médico del estudio, sabrán cuál es el tratamiento del estudio que se le ha administrado al participante.

Durante los primeros 3 meses del estudio, el médico del estudio verá a los participantes cada 2 semanas. Comprobará si hay algún efecto no deseado que los participantes puedan tener. Los participantes que continúen tomando fenebrutinib en la parte de extensión opcional del estudio acudirán al médico del estudio cada 2 semanas durante los primeros 2 meses, luego, de nuevo 1 mes después y, posteriormente, cada 3 meses durante el resto del estudio. Si los participantes dejan de tomar fenebrutinib por cualquier motivo durante cualquier parte del estudio, tendrán una visita de seguimiento 1 mes después de recibir su última dosis del tratamiento del estudio. Durante esta visita, el médico del estudio comprobará el bienestar del participante. El tiempo total de participación en el estudio será de aproximadamente 3 meses, y hasta aproximadamente 2 años si continúan en el estudio durante la extensión opcional. Los participantes tienen derecho a suspender el tratamiento del estudio y a abandonar el estudio en cualquier momento, si así lo desean.

### **4. ¿Cuáles son los principales resultados que se miden en este estudio?**

Los principales resultados medidos en el estudio son:

- Cómo llega el fenebrutinib a las distintas partes del cuerpo y cómo se elimina

- El número total de nuevas lesiones observadas en las resonancias magnéticas (RM) cerebrales después de 3 meses de iniciar el tratamiento del estudio

Otros resultados clave que se medirán en este estudio son:

- Número y gravedad de los efectos no deseados

## **5. ¿Existen riesgos o beneficios por participar en este estudio?**

Participar en el estudio puede hacer que los pacientes se sientan mejor o no. Sin embargo, la información recopilada en el estudio puede ayudar a otros niños y adolescentes con enfermedades similares en el futuro.

Es posible que al momento de realizar del estudio no se conozca totalmente en qué medida es seguro y cómo funciona el tratamiento del estudio. El estudio implica algunos riesgos para el participante. No obstante, estos riesgos no suelen ser generalmente mayores que los relacionados con la atención médica habitual o la evolución natural de la enfermedad. Se informará a los niños y adolescentes que, junto con sus tutores o cuidadores adultos, estén interesados en participar en el estudio sobre los riesgos y beneficios, así como cualquier procedimiento o prueba adicional a la que deban someterse. Todos los detalles del estudio se recopilarán en un documento de consentimiento informado. En este, se incluye también información sobre los posibles efectos y otras opciones de tratamiento.

### **Riesgos asociados al fenebrutinib**

Los participantes pueden sufrir efectos no deseados derivados del medicamento utilizado en este estudio. Estos efectos no deseados pueden ser de leves a graves, incluso potencialmente mortales, y variar de una persona a otra. Durante este estudio, los participantes se someterán a revisiones de salud periódicas para comprobar si se producen efectos no deseados.

Se informarán a los participantes los efectos no deseados conocidos del fenebrutinib, y los posibles efectos no deseados con base en estudios realizados en seres humanos y de laboratorio o en el conocimiento de medicamentos similares. Los efectos no deseados conocidos incluyen concentraciones sanguíneas más altas de lo habitual de proteínas hepáticas (llamadas "ALT" y "AST"), lo que podría indicar un posible daño hepático.

El medicamento del estudio podría ser perjudicial para un bebé en gestación. Todas las participantes que puedan tener (o llegar a tener) capacidad de concebir deben tomar precauciones para evitar exponer a un bebé en gestación al tratamiento del estudio.

### ***Inclusion Criteria:***

- Diagnóstico de RMS según los criterios del Grupo Internacional de Estudio de Esclerosis Múltiple Pediátrica (IPMSSG) para EM pediátrica, versión 2012, y los Criterios McDonald revisados de 2017, y uno o más de los siguientes: al menos una recaída de EM durante el año anterior o dos recaídas de EM en los 2 años anteriores, o evidencia de al menos una lesión con realce de Gd en la resonancia magnética en los últimos 6 meses.
- Escala Ampliada del Estado de Discapacidad (EDSS) en la selección: de 0 a 5,5 puntos, ambos inclusive.
- Los niños y adolescentes deben haber recibido todas las vacunas infantiles según las recomendaciones locales/nacionales para la vacunación infantil contra enfermedades infecciosas.

## ***Exclusion Criteria:***

- Diagnóstico de esclerosis múltiple primaria progresiva (EMPP) o esclerosis múltiple secundaria progresiva (EMSP) no activa.
- Afecciones comórbidas:
- Trastornos neurológicos, somáticos o metabólicos que puedan causar confusión.
- Enfermedad psiquiátrica o médica clínicamente significativa actual.
- Antecedentes de cáncer, trasplantes o trastornos hemorrágicos.
- Incapacidad para completar una resonancia magnética o recibir gadolinio.
- Pruebas de función hepática o hemogramas anormales.
- Acceso venoso periférico que impide la toma de muestras de sangre venosa según lo requerido por el protocolo del estudio.
- Sensibilidad o intolerancia a alguno de los ingredientes (incluidos los excipientes) de los comprimidos de fenebrutinib.
- Infecciones activas, recurrentes o crónicas.
- Uso reciente o previsto de medicamentos/tratamientos prohibidos:
- Ciertas terapias modificadoras de la enfermedad (TME) y otros inmunosupresores.
- Medicamentos que interactúan con fenebrutinib (inhibidores del citocromo P450 3A4 [CYP3A4]).
- Cualquier otra terapia en investigación, anticoagulantes, ciertas vacunas.