

Síndrome Hemolítico Urémico Atípico (SHUa)

Un estudio para ver cuán seguro y eficaz es crovalimab en niños y adolescentes con síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa)

Estudio de fase III, multicéntrico y de un solo brazo para evaluar la eficacia, la seguridad, la farmacocinética y la farmacodinámica de crovalimab en pacientes pediátricos con síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa)

Trial Status
Aceptando Pacientes

Trial Runs In
15 Countries

Trial Identifier
NCT04958265 2020-002437-15
BO42354

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 de fase III, multicéntrico y de un solo brazo para evaluar la eficacia, la seguridad, la farmacocinética y la farmacodinámica de crovalimab en pacientes pediátricos con síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa)

Trial Summary:

Un estudio para ver cuán seguro y eficaz es crovalimab en niños y adolescentes con síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa)

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Fase 3
Phase

NCT04958265 2020-002437-15 BO42354
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
All

Age
#28 Días & # 17 Años

Healthy Volunteers
No

1. ¿CÓMO FUNCIONA EL ESTUDIO CLÍNICO COMMUTE-p (BO42354)?

En este estudio se reclutan personas que tienen un tipo de enfermedad llamada síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa). Con el fin de participar, usted debe ser menor de 18 años y haber sido diagnosticado con SUHa.

El objetivo de este estudio es evaluar cuán seguro y eficaz es crovalimab y comprender la manera en que su cuerpo procesa este medicamento.

2. ¿CÓMO PARTICIPO EN ESTE ESTUDIO CLÍNICO?

Para poder participar en este estudio, debe ser menor de 18 años (los bebés deben tener mínimo 28 días de nacidos y pesar mínimo 5 kg). Además debe estar al día con determinadas vacunas.

No debe tener antecedentes de enfermedad renal ni ninguna otra afección, distinta al SUHa, que haga que sus riñones no funcionen tan bien como deberían. No debe haberse sometido a ningún trasplante de órganos (aparte del riñón) ni haber recibido tratamiento de diálisis durante más de cuatro semanas. Si tiene ciertas afecciones médicas o recibió ciertos tratamientos, tampoco podrá participar en este estudio clínico.

Si usted y su cuidador consideran que este estudio puede ser adecuado para usted y usted desea participar, hablen con su médico. Si su médico considera que podría participar en este estudio, este puede remitirlo al médico del estudio clínico más cercano, el cual le proporcionará toda la información necesaria para tomar la decisión de participar en el estudio. Además, puede conocer la ubicación de los centros del estudio en esta página.

Se le harán algunas pruebas adicionales para cerciorarse de que podrá tomar los tratamientos administrados en el estudio. Algunas de estas pruebas o procedimientos pueden ser parte de su atención médica habitual. Quizá se deba someter a estas incluso si no participa en el estudio. Si usted se sometió a algunas de estas pruebas recientemente, quizá no sea necesario repetirlos.

Antes de iniciar el estudio clínico, a usted y a su cuidador se les informará sobre los riesgos y beneficios de participar. También se les informará qué otros tratamientos están disponibles para que pueda decidir si aún desea participar.

Mientras participan en el estudio clínico, las pacientes que puedan quedar embarazadas deberán no tener relaciones sexuales heterosexuales o tomar medicamentos anticonceptivos por motivos de seguridad.

3. ¿QUÉ TRATAMIENTO ME DARÁN SI ME UNO A ESTE ESTUDIO CLÍNICO?

Todas las personas que se unan a este estudio clínico recibirán crovalimab. El tratamiento con crovalimab se dividirá en dos partes: la serie de dosis de carga y las dosis de mantenimiento (durante mínimo 24 semanas) pero las dosis y los momentos variarán en función del peso de cada paciente.

ForPatients

by Roche

En pacientes que pesen mínimo 12 kg, crovalimab se administrará como una inyección en una vena (infusión) el día 1, y como una inyección bajo la piel el día 2 durante la semana 1 de la serie de dosis de carga. Durante las semanas 2, 3 y 4, crovalimab se administrará como una inyección bajo la piel una vez a la semana.

Tras esto, para las dosis de mantenimiento (que inician en la semana 5), crovalimab se administrará como una inyección bajo la piel cada dos o cuatro semanas (en función del peso del paciente) hasta el final del estudio clínico.

En pacientes que pesen menos de 12 kg, crovalimab se administrará como una inyección en una vena (infusión) el día 1 y como una inyección bajo la piel el día 2 durante la semana 1 de la serie de dosis de carga. Luego, las dosis de mantenimiento de crovalimab se administrarán cada dos semanas como inyecciones bajo la piel, de la semana 3 en adelante.

4. ¿CON QUÉ FRECUENCIA Y POR CUÁNTO TIEMPO ME VERÁN EN LAS CITAS DE SEGUIMIENTO?

Se le administrará crovalimab durante mínimo 24 semanas y es posible que continúe con el tratamiento durante más tiempo si usted y su médico determinan que está funcionando bien para usted. Usted puede suspender este tratamiento en cualquier momento. Durante las primeras 5 semanas de tratamiento, deberá ir a un hospital o clínica de manera que el médico pueda enseñarle a usted y/o su cuidador cómo administrar las inyecciones. Después de esto, usted y/o su cuidador tendrán la opción de administrar las inyecciones, si así lo prefieren. Su médico lo seguirá viendo con regularidad durante y después del tratamiento.

Durante el tratamiento, su médico lo verá con regularidad (una vez a la semana inicialmente, después, cada 2 semanas y, luego, cada 4 semanas). Si sigue tomando crovalimab después del primer período de 24 semanas, su médico seguirá viéndolo cada 4 meses. Estas visitas clínicas incluirán chequeos para ver cómo responde al tratamiento y saber si presenta efectos secundarios.

5. ¿QUÉ PASA SI NO PUEDO PARTICIPAR EN ESTE ESTUDIO CLÍNICO?

Si este estudio clínico no es adecuado para usted, no podrá participar. Su médico le sugerirá otros estudios clínicos en los que pueda participar u otros tratamientos que se le puedan administrar. No perderá el acceso a su atención habitual.

Para obtener más información sobre este estudio clínico, consulte la pestaña **Para expertos** en la página específica de Para pacientes o siga este enlace a ClinicalTrials.gov: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04958265>

Identificador del estudio: NCT04958265

ForPatients

by Roche

Inclusion Criteria:

- Body weight \geq 5 kg at screening.
- Vaccination against *Neisseria meningitidis* serotypes A, C, W, and Y; vaccination against serotype B, according to national vaccination recommendations.
- Vaccination against *Haemophilus influenzae* type B and *Streptococcus pneumoniae*, according to national vaccination recommendations.
- For patients continuing to receive other therapies concomitantly with crovalimab (e.g., immunosuppressants, corticosteroids, mammalian target of rapamycin inhibitor (mTORi), or calcineurin inhibitors): stable dose for \geq 28 days prior to screening and up to the first crovalimab administration.
- For female participants of childbearing potential: an agreement to remain abstinent or use contraception.
- Participants with a prior kidney transplant are eligible if they have a known history of complement-mediated aHUS prior to the kidney transplant.
- Onset of initial TMA presentation within 28 days prior to the first dose of crovalimab (for Naive Cohort only).
- Documented treatment with either eculizumab or ravulizumab (for Switch Cohort only).
- Clinical evidence of response to a C5 inhibitor (for Switch Cohort only).
- Poorly controlled TMA following treatment with another C5 inhibitor (for C5 SNP participants in the Pretreated Cohort only).
- Known C5 polymorphism (for C5 SNP participants in the Pretreated Cohort only).

Exclusion Criteria:

- TMA associated with non-aHUS related renal disease.
- Positive direct Coombs test.
- Chronic dialysis within 90 days prior to first crovalimab administration, and /or end stage renal disease
- Identified drug exposure-related TMA.
- Presence or history of a condition that could trigger TMA, such as malignancy, bone marrow or organ transplant (other than kidney transplant) or autoimmune disease.
- History of a kidney disease, other than aHUS.
- History of *Neisseria meningitidis* infection within 6 months of study enrollment.
- Known or suspected immune deficiency (e.g., history of frequent recurrent infections).
- Positive HIV test.
- Active systemic bacterial, viral, or fungal infection within 14 days before first crovalimab administration.
- Presence of fever (\geq 38°C) within 7 days before the first crovalimab administration.
- Multi-system organ dysfunction or failure.
- Recent intravenous immunoglobulin (IVIg) treatment.
- Pregnant or breastfeeding or intending to become pregnant.
- Participation in another interventional treatment study with an investigational agent or use of any experimental therapy within 28 days of screening or within five half lives of that investigational product, whichever is greater.
- Recent use of tranexamic acid.
- Current or previous treatment with a complement inhibitor (for Naive Cohort only).
- First initiation of plasma exchange/plasma infusions (PE/PI) should not be more than 28 days prior to first crovalimab administration (for Naive Cohort only).
- Last PE/PI completed less than 2 hours prior to first crovalimab administration (for Naive Cohort only).
- Receiving PE/PI within 8 weeks of the first crovalimab administration (Switch Cohort only).
- Positive for active Hepatitis B and/or C infections (HBV/HCV) (for Switch Cohort and switching C5 SNP Pretreated Cohort participants who recently received C5 inhibitor treatment).

ForPatients

by Roche

- Cryoglobulinemia at screening (for Switch Cohort and C5 SNP Cohort participants who recently received C5 inhibitor treatment).
- Documented condition leading to non-aHUS TMA: Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (TTP), Shiga Toxin producing Escherichia Coli (STEC)-TMA, Pneumococcal HUS, TMA secondary to cobalamin C defect and TMA related to Diacylglycerol kinase # (DGKE) nephropathy.