

## Resumen de los resultados del ensayo clínico

### Estudio para evaluar qué tan seguras eran diferentes dosis de un nuevo medicamento del estudio (RO7303509) para personas sanas, y cómo procesa el organismo este medicamento

Consulte el final del resumen para conocer el título completo del estudio.

#### Acerca de este resumen

Este es un resumen de los resultados de un ensayo clínico (en este documento, se denomina “estudio”).

Este resumen se ha redactado para los siguientes destinatarios:

- Miembros del público
- Las personas que participaron en el estudio

Este resumen se basa en la información conocida al momento de la redacción.

El estudio comenzó en septiembre de 2020 y finalizó en julio de 2022. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Se necesitan muchas personas en varios estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones basadas en este único resumen.**
- **Consulte siempre a su médico antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento.**

#### Contenido del resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quiénes participaron en este estudio?
3. ¿Qué sucedió durante el estudio?
4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?
5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?
6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?
7. ¿Hay planes para realizar otros estudios?
8. ¿Dónde puedo obtener más información?

#### Gracias a las personas que participaron en este estudio

Las personas que participaron en este estudio han ayudado a los investigadores a responder a preguntas importantes sobre el RO7303509, un nuevo medicamento del estudio.

## Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para averiguar hasta qué punto era seguro que las personas recibieran un nuevo medicamento en diferentes dosis.
- A las personas se les administró el medicamento del estudio (RO7303509) o un placebo. Se decidió al azar qué tratamiento se administraría a cada persona.
- Este estudio incluyó a 49 personas sanas de un país: EE. UU.
- El hallazgo principal fue que los investigadores consideraron que el RO7303509 era seguro para las personas con las dosis probadas en este estudio, cuando se administró una dosis única a personas sanas.
- Nadie en este estudio tuvo efectos secundarios graves causados por los tratamientos.
- Cinco de las 36 personas que recibieron RO7303509, y 3 de las 13 personas que recibieron placebo, tuvieron un efecto secundario que no fue grave y desapareció (se resolvió) rápidamente, pero que se consideró causado por los tratamientos.

## 1. Información general sobre este estudio

### ¿Por qué se realizó este estudio?

El **tejido conjuntivo** proporciona apoyo, estructura, fuerza, forma y protección a tejidos y órganos del cuerpo. La **esclerosis sistémica (ES)** es una enfermedad que causa **cicatrices** anómalas en los tejidos conjuntivos, similares a las que suceden después de una lesión.

Las personas con ES tienen tejidos conjuntivos gruesos y rígidos, que se pueden hinchar y ser dolorosos. Se produce un aumento del colágeno. El **colágeno** es una proteína estructural y el colágeno adicional provoca el endurecimiento de los tejidos conjuntivos. Los médicos pueden ver esto como tejido cicatricial o "**fibrosis**".

Muchas personas con ES tienen un buen pronóstico: viven una vida plena y productiva. Sin embargo, algunas personas mueren por esta enfermedad cuando el pulmón, el corazón o los riñones se ven afectados.

Se sabe que la ES es una **enfermedad autoinmunitaria**. Se produce cuando los glóbulos blancos (células inmunitarias) se desencadenan, por error, y comienzan una "respuesta inmunitaria". Durante esta respuesta inmunitaria, los glóbulos blancos liberan diferentes tipos de proteínas de señalización (**citocinas**). Algunas de las citocinas pueden afectar a los genes y las proteínas de la célula, y comenzar una "respuesta de cicatrización", lo que provoca un exceso de colágeno, y la acumulación de tejido cicatricial.

Los investigadores han identificado varias citocinas que desempeñan un papel en la ES. También están desarrollando medicamentos del estudio que podrían interferir con las citocinas y detener el proceso de fibrosis. El **RO7303509** es uno de estos medicamentos del estudio. Los investigadores están probando el RO7303509 para ver si podría ser útil en la ES.

Este estudio se realizó para encontrar una dosis de RO7303509 que fuera segura para su administración a personas sanas. Los resultados de este estudio serían útiles para la administración de la dosis en estudios realizados después de este.

### ¿Cuál era el medicamento estudiado?

Este estudio analizó un medicamento y un placebo.

#### **RO7303509**

- Este medicamento del estudio también se conoce como "MTBT1466A".
- El RO7303509 es un anticuerpo, una proteína que solo se une a una molécula.
- El RO7303509 se ha diseñado para unirse al **TGFβ3**, pronunciado como "T-G-F-beta-3".
- El TGFβ3 es una citocina.
- Cuando el TGFβ3 se une al RO7303509, el TGFβ3 se vuelve inactivo.
- Al impedir que el TGFβ3 sea activo en el organismo, el RO7303509 puede interferir en el proceso de fibrosis en personas que tienen la enfermedad de la ES.

## **Placebo**

- Todos los participantes de este estudio recibieron tratamiento. El tratamiento contenía el medicamento del estudio (RO7303509) o un placebo.
- El placebo tenía el mismo aspecto que el medicamento real, pero no contenía ningún medicamento. Esto significa que no tenía efectos medicinales en el organismo.
- Los investigadores compararon los tratamientos con RO7303509 con el placebo, por lo que pudieron mostrar qué efectos secundarios del tratamiento fueron causados realmente por el RO7303509.

## **¿Qué querían averiguar los investigadores?**

---

### **La pregunta principal que los investigadores querían responder era la siguiente:**

1. ¿Hasta qué punto fue seguro para las personas recibir un único tratamiento con RO7303509, administrado a diferentes dosis a diferentes grupos de personas?

## **¿Qué tipo de estudio fue este?**

---

Estas son algunas de las características de este estudio.

### **Estudio de fase I**

Este fue un estudio de “fase I”, lo que significa que se trataba de un estudio inicial que analizaba el RO7303509. Una pequeña cantidad de personas sanas recibieron tratamientos. Los investigadores realizaron pruebas médicas a las personas para averiguar más sobre los tratamientos.

### **Estudio de escalada de dosis**

Cada nuevo grupo de personas que se incorporó al estudio recibió la siguiente dosis más alta del tratamiento. La decisión de aumentar el nivel de dosis, “escalada de dosis”, se tomó después de revisar los resultados de seguridad de las personas que ya habían sido tratadas con los niveles de dosis más bajos.

### **Estudio aleatorizado**

Una computadora decidió aleatoriamente qué persona recibía el RO7303509 y quién un placebo. Ni los investigadores ni las personas tuvieron ningún control al respecto.

### **Estudio doble ciego**

Los investigadores y las personas incluidas en el estudio no sabían quién recibía el RO7303509 y quién recibía el placebo. Eso hizo que el estudio fuera un estudio doble ciego.

### **Estudio controlado con placebo**

Algunas personas recibieron el RO7303509 mientras que otras recibieron un placebo. Esto se hizo para que el tratamiento con RO7303509 pudiera compararse con el tratamiento con placebo, para averiguar el efecto real del RO7303509.

## **¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?**

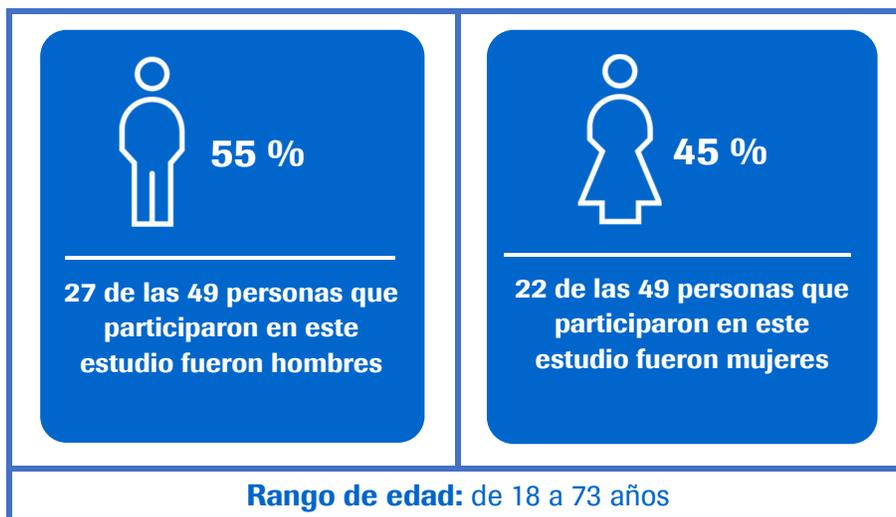
---

El estudio comenzó en septiembre de 2020 y finalizó en mayo de 2022. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

El estudio tuvo lugar en un centro del estudio de los EE. UU.

## 2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

Cuarenta y nueve personas sanas participaron en este estudio.



**Las personas podrían participar en este estudio si cumplían todas las siguientes condiciones:**

- Tener entre 18 y 75 años de edad.
- Pesar entre 50 y 150 kg.
- Cumplir con una cierta relación peso-estatura (índice de masa corporal de 18 a 32 kg/m<sup>2</sup>).
- Seguir las instrucciones del estudio y firmar un formulario de consentimiento.
- Cumplir con los requisitos de salud de este estudio.
- Dejar de consumir alcohol, tabaco, productos de nicotina y drogas ilegales durante la participación en el estudio.
- Tanto hombres como mujeres aceptaron utilizar métodos anticonceptivos durante el estudio. Los hombres no podían donar esperma durante algún tiempo después de la administración.

**Las personas no podían participar en este estudio si cumplían cualquiera las siguientes condiciones:**

- Mujeres que estuvieran embarazadas, amamantando o que pretendían quedar embarazadas durante el estudio.
- Antecedentes recientes de cirugía mayor o planes de cirugía mayor en un futuro próximo.
- Antecedentes de afección médica, o afección médica actual, de una lista de afecciones no permitidas en este estudio.
- Consumo de drogas ilegales en los últimos 12 meses o consumo de tabaco y nicotina en los últimos 3 meses.
- Uso reciente de medicamentos de venta con receta no permitidos en este estudio.
- Participación reciente en otro ensayo clínico.

### 3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

#### Selección

Los investigadores hicieron preguntas a las personas y realizaron pruebas para decidir si podían participar en este estudio. Esto ocurrió durante los 35 días anteriores al inicio del estudio.

#### Registro

Las personas ingresaron en el centro del estudio el día -1. Esto fue un día antes de que recibieran sus tratamientos.

#### Aleatorización

El día 1, las personas se seleccionaron al azar para recibir el medicamento del estudio o el placebo. Recibieron su tratamiento el día 1. Permanecieron en el centro del estudio desde el día -1 hasta el día 3.

#### Seguimiento

Las personas volvieron a la clínica varias veces para las visitas de seguimiento, hasta el día 85.

#### Aumento gradual de la dosis

Cuando se dispuso de suficiente información para demostrar que un nivel de dosis era seguro, los investigadores comenzaron de nuevo el proceso de inscribir a personas para el siguiente grupo de dosis más alta.

#### Grupos de tratamiento

- Tratamiento intravenoso (**i.v.**) administrado a través de una vena a 25 personas en los grupos A, B y C. Esto incluyó a 18 que recibieron RO7303509 y 7 que recibieron placebo.
- Tratamiento subcutáneo (**s.c.**) administrado mediante una inyección bajo la piel a 24 personas en los grupos D, E y F. Esto incluyó a 18 que recibieron RO7303509 y a 6 que recibieron placebo.
- Las dosis i.v. y s.c. del RO7303509 se administraron en miligramos (**mg**).

Grupo de tratamiento	Dosis	Personas que recibieron RO7303509	Personas que recibieron placebo
A	50 mg i.v.	6	2
B	150 mg i.v.	6	3
C	240 mg i.v.	6	2
D	240 mg s.c.	6	2
E	675 mg s.c.	6	2
F	1200 mg s.c.	6	2
		Total = 36 personas	Total = 13 personas

## 4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Todos los participantes del estudio recibieron un tratamiento. La mayoría de las personas acudieron a todas sus visitas de seguimiento y completaron el estudio. Solo 4 personas abandonaron el estudio antes de completar todas sus visitas de seguimiento, para las que se sustituyó a un sujeto en la cohorte B.

### Pregunta 1: ¿Hasta qué punto fue seguro para las personas recibir un único tratamiento con RO7303509, administrado a diferentes dosis a diferentes grupos de personas?

Los investigadores analizaron a personas que recibieron RO7303509 entre 50 y 1200 mg. No se produjeron muertes en este estudio y nadie abandonó el estudio debido a efectos secundarios.

- Nadie tuvo un efecto secundario grave que se consideró causado por los tratamientos i.v. o s.c.
- Algunas personas tuvieron un efecto secundario que no fue grave, pero que se consideró causado por los tratamientos del estudio.
- Nadie se retiró del estudio debido a efectos secundarios.
- Todos los efectos secundarios desaparecieron (**se resolvieron**).

Los resultados de este estudio mostraron que una dosis única de RO7303509 era segura para que las personas recibieran las dosis probadas en este estudio. Estos resultados proceden de un pequeño grupo de personas sanas y pueden diferir en otro grupo de personas.

## 5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

Los efectos secundarios son problemas médicos (como sensación de mareo) que se produjeron durante el estudio.

- Si se describen en este resumen, es porque el médico del estudio cree que los efectos secundarios estuvieron relacionados con los tratamientos del estudio.
- No todas las personas en un estudio presentan todos los efectos secundarios enumerados en ese estudio.
- Los efectos secundarios pueden ser de leves a muy graves y pueden variar de una persona a otra.
- Es importante ser consciente de que los efectos secundarios informados aquí proceden de este único estudio. Por lo tanto, los efectos secundarios indicados aquí pueden ser distintos de los observados en otros estudios, o de los que aparecen en los prospectos del medicamento.
- Si en este estudio se presentaron efectos secundarios graves y frecuentes, se enumerarán en las siguientes secciones.

### Efectos secundarios graves

Un efecto secundario se considera “grave” si es potencialmente mortal, necesita atención hospitalaria o causa problemas duraderos.

Durante este estudio, nadie tuvo efectos secundarios graves.

Durante este estudio, no se produjeron muertes. Nadie abandonó el estudio debido a los efectos secundarios de los tratamientos del estudio.

## Efectos secundarios más frecuentes

Durante este estudio, algunas personas tuvieron un efecto secundario que no fue grave, pero los médicos consideraron que fue causado por el tratamiento del estudio. Los efectos secundarios fueron:

- Reacciones relacionadas con la infusión (RRI) en 3 de las 25 personas que recibieron tratamientos i.v.
  - Una de 18 personas (6 %) que recibieron RO7303509
  - Dos de 7 personas (29 %) que recibieron placebo
  - Las RRI pueden ser cualquiera de los diversos síntomas de recibir una administración i.v., como picor en la piel, erupción cutánea, hinchazón, enrojecimiento, dolor en la zona, fiebre, escalofríos y dificultad para respirar, entre otros.
- Reacciones en el lugar de la inyección (Injection-site reactions, ISR) en 5 personas de las 24 que recibieron tratamientos s.c.
  - Cuatro de 18 personas (22 %) que recibieron RO7303509
  - Una de 6 personas (17 %) que recibieron placebo
  - Las ISR pueden ser cualquiera de los diversos síntomas de recibir una inyección, como dolor, picor e hinchazón alrededor del lugar de la inyección, entre otros.

## Otros efectos secundarios

Puede encontrar información sobre otros efectos secundarios (que no se muestran en las secciones anteriores) en los sitios web que figuran al final de este resumen. Consulte la sección 8.

## 6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?

La información que se presenta aquí es de un solo estudio de 49 personas sanas. Estos resultados ayudaron a los investigadores a obtener más información sobre el medicamento del estudio. En este estudio, no hubo ningún beneficio del medicamento para las personas.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Se necesitan muchas personas en varios estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones basadas en este único resumen.**
- **Consulte siempre a su médico antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento.**

## 7. ¿Hay planes para realizar otros estudios?

En el momento de redactar este resumen, se había iniciado otro estudio sobre el RO7303509.

## 8. ¿Dónde puedo obtener más información?

Puede obtener más información sobre este estudio en los sitios web que se indican a continuación:

<https://www.isrctn.com/ISRCTN13175485>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/healthy-volunteers/a-study-to-look-at-how-safe-different-doses-of-a-new-study-medic.html>

### ¿Con quién puedo comunicarme si tengo preguntas acerca de este estudio?

---

Si tiene alguna pregunta adicional después de leer este resumen:

- Visite la plataforma ForPatients y complete el formulario de contacto:  
<https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Comuníquese con un representante en su oficina local de Roche.

Si participó en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- Hable con el médico del estudio o con el personal del hospital o la clínica del estudio.

Si tiene preguntas acerca de su propio tratamiento:

- Hable con el médico a cargo de su tratamiento.

### ¿Quién organizó y pagó este estudio?

---

Este estudio fue organizado y pagado por Genentech, Inc., South San Francisco, CA, EE. UU. Genentech es parte de F. Hoffmann-La Roche Ltd., con sede central en Basilea, Suiza.

### Título completo del estudio y otra información de identificación

---

El título completo de este estudio es: Estudio en fase Ia, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la seguridad, la tolerabilidad y la farmacocinética de dosis únicas ascendentes de RO7303509 en voluntarios sanos.

- El número de protocolo de este estudio es GA42285.
- El número de ensayo clínico ISRCTN para este estudio es 13175485.