

Resumen de los resultados del ensayo

Qué sucede con un medicamento (pralsetinib) cuando se administra a personas con hígados enfermos

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 diciembre de 2021 y finalizó en octubre 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 han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la enfermedad hepática y su efecto en el pralsetinib, el medicamento del estudio.

Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para averiguar cómo afecta el estado de salud del hígado a la cantidad total de medicamento del estudio, pralsetinib, que se encuentra en sangre después de la administración de la dosis.
- Se administró pralsetinib a personas con hígados sanos y con diferentes estadios de enfermedad hepática.
- Los investigadores midieron el pralsetinib en muestras de sangre extraídas en diferentes momentos antes y después de la administración de pralsetinib.
- Este estudio incluyó a un total de 29 personas en los EE. UU.
- El hallazgo principal fue que el pralsetinib general que se encontró en la sangre era similar entre las personas con hígados sanos y aquellas con enfermedad hepática moderada y grave. No obstante, la cantidad más alta de pralsetinib que se encontró en sangre fue ligeramente inferior en las personas con enfermedad hepática grave.
- En este estudio no hubo efectos secundarios graves. Una persona con enfermedad hepática grave y otra con función hepática sana tuvieron efectos secundarios que no fueron graves, sin embargo, los médicos pensaron que habían sido ocasionados por el medicamento del estudio. Los efectos secundarios habían desaparecido (se habían resuelto) para el momento en que finalizó el estudio.
- En general, el efecto de la enfermedad hepática moderada y grave sobre la cantidad de pralsetinib en sangre fue pequeño.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

Cuando las personas toman una dosis de medicamento, la salud y la función del hígado pueden afectar la cantidad de medicamento que se puede medir en sangre. Este estudio se realizó para averiguar cómo la función hepática (un hígado sano frente a enfermedad hepática moderada y grave) afectaba la cantidad de medicamento del estudio en el cuerpo.

¿Cuál era el medicamento del estudio?

Pralsetinib es un medicamento aprobado para un tipo de cáncer de pulmón y un tipo de cáncer de tiroides. Es un inhibidor de las proteínas “reorganizadas durante la transfección” (RT) que tienen mutaciones (proteínas oncogénicas) o se juntan (proteínas de fusión). Esto significa que pralsetinib ralentiza o detiene la actividad de aquellas proteínas que han cambiado de una manera que ayuda al cáncer a crecer.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

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

1. ¿Cómo se comporta el pralsetinib en el cuerpo cuando se administra a personas con enfermedad hepática moderada o grave, en comparación con las personas con función hepática sana?

¿Qué tipo de estudio fue este?

Hay varias formas de describir este estudio.

Estudio de fase I

Se trataba de un estudio de “fase I” para recopilar información sobre el medicamento del estudio. Un número reducido de personas sanas, y personas con enfermedad hepática moderada y grave, recibieron el medicamento del estudio. La información de este estudio puede usarse como guía para otros estudios con más personas o para ayudar a su médico a administrar el medicamento de forma segura a personas con enfermedad hepática.

Estudio abierto

Los investigadores y las personas del estudio sabían que estaban recibiendo el medicamento del estudio, pralsetinib. Esto lo convirtió en un estudio “abierto”.

Estudio de dosis única

Las personas del estudio recibieron una dosis única del medicamento del estudio.

Estudio de grupos paralelos

Las personas se incorporaron a uno de los tres grupos del estudio. El estado de salud hepática de cada grupo fue diferente, esto es lo que se comparó entre los grupos, si bien todos los grupos recibieron el mismo medicamento del estudio. Esto lo convirtió en un estudio de “grupos paralelos”.

¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

El estudio comenzó en diciembre de 2021 y finalizó en octubre de 2022. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

El estudio se llevó a cabo en cuatro centros de estudio en un solo país: los EE. UU.

2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

Veintinueve personas participaron en este estudio.

| | Grupo 1 Función hepática sana | Grupo 2 Enfermedad hepática moderada | Grupo 3 Enfermedad hepática grave | Todas |
|---------------------------------|--|---|--|--------------|
| Cantidad de personas | 14 | 9 | 6 | 29 |
| Edad promedio (años) | 57 | 57 | 61 | 58 |
| Sexo Masculino | 10 (71 %) | 7 (78 %) | 5 (83 %) | 22 (76 %) |
| Femenino | 4 (29 %) | 2 (22 %) | 1 (17 %) | 7 (24 %) |

Las personas podían participar en el estudio si cumplían varias condiciones, incluidas todas las siguientes:

- Mujeres que no estaban embarazadas ni amamantando, y que no podían quedar embarazadas
- Hombres que eran estériles o usaban métodos anticonceptivos, y aceptaron no donar espermatozoides durante 14 días después de la administración
- Entre 18 y 74 años de edad
- Cumplían con determinada relación estatura-peso (IMC: 17 a 38 kg/m²).
- Tenían buena salud salvo la enfermedad hepática para las personas de los grupos 2 y 3
- Obtuvieron resultado negativo en la prueba de abuso de drogas

Las personas no podían participar en el estudio si cumplían cualquiera de las siguientes condiciones:

- Enfermedad durante las 2 semanas anteriores al inicio del estudio (infecciones, cirugía u hospitalizaciones), a menos que estuviera relacionada con la enfermedad hepática (grupos 2 y 3)
- Antecedentes de derivaciones quirúrgicas o artificiales
- Antecedentes o problemas de salud actuales no permitidos
- Antecedentes de consumo de drogas, alcohol o nicotina durante un período no permitido
- Exposición a medicamentos de una lista de medicamentos que no estaban permitidos
- Uso de alimentos/bebidas de una lista de elementos no permitidos 3 días antes del inicio del estudio
- Ejercicio extenuante dentro de los 2 días previos al inicio del estudio
- Donación o recepción de hemoderivados durante un período no permitido

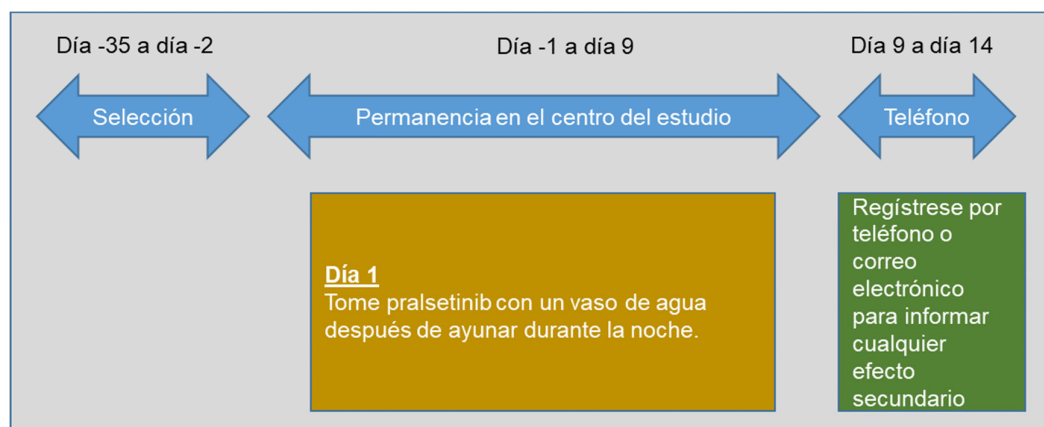
3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

El personal del estudio examinó (**seleccionó**) a las personas que querían participar en el estudio, durante un máximo de 35 días antes de que comenzara el estudio.

Las personas que pasaron la selección pudieron ingresar en el estudio, se registraron en el centro del estudio un día antes de recibir el medicamento; esto se realizó el **día -1**. El personal del estudio extrajo muestras de sangre, hizo preguntas y realizó pruebas médicas para determinar el estado médico de la persona antes de administrar el medicamento del estudio.

Las personas se incorporaron a uno de tres grupos, en función de los resultados de su prueba de función hepática:

- Grupo 1: Función hepática sana
- Grupo 2: Enfermedad hepática moderada
- Grupo 3: Enfermedad hepática grave



Tratamiento en el día 1

El día 1, después de ayunar durante la noche por al menos 8 horas, las personas del estudio tomaron pralsetinib con agua por la mañana, y ayunaron durante otras dos horas después de tomar pralsetinib. Las personas podían beber agua libremente en todo momento, con excepción de una hora antes y dos horas después de tomar pralsetinib.

Qué sucedió después de los tratamientos

- El personal del centro del estudio extrajo muestras de sangre antes del tratamiento y en varios puntos temporales después del tratamiento. Se realizaron exámenes médicos durante todo el estudio.
- Las personas permanecieron en el centro del estudio hasta el día 9 y luego se fueron a su hogar.
- Hablaron por teléfono con el personal del estudio hasta el día 14 para informar cualquier efecto secundario.

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Pregunta 1: ¿Cómo se comporta el pralsetinib en el cuerpo cuando se administra a personas con enfermedad hepática moderada o grave, en comparación con las personas con función hepática sana?

- El hallazgo principal fue que el pralsetinib general que se encontró en el cuerpo era similar entre las personas con hígados sanos y aquellas con enfermedad hepática moderada y grave.
- No obstante, la cantidad más alta de pralsetinib que se encontró en sangre fue inferior en las personas con enfermedad hepática grave.

Esta sección solo muestra los resultados clave de este estudio. Puede encontrar información sobre todos los demás resultados en los sitios web al final de este resumen (consulte la sección 8).

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

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

- Se describen en este resumen porque el médico del estudio cree que los efectos secundarios estuvieron relacionados con los tratamientos del estudio.
- No todas las personas de un estudio experimentan todos los efectos secundarios.
- 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.

- En este estudio no se observaron efectos secundarios graves.
- Nadie se retiró del estudio debido a los efectos secundarios.

Efectos secundarios más frecuentes

Durante este estudio, dos personas tuvieron efectos secundarios que no fueron graves, pero que el personal del estudio consideró que habían sido ocasionados por el medicamento del estudio.

- Una persona del grupo 1 (función hepática sana) tuvo dolor de cabeza.
- Una persona del grupo 3 (enfermedad hepática grave) presentó un resultado anómalo en el electrocardiograma (ECG).
- Los efectos secundarios habían desaparecido para el momento en que finalizó el estudio.

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 aquí presentada procede de un estudio único de 29 personas, 15 de las cuales tenían enfermedad hepática moderada o grave, y las 14 personas restantes tenían hígados sanos. Estos resultados ayudaron a los investigadores a obtener más información acerca del comportamiento del pralsetinib en el cuerpo de las personas con hígados sanos y con enfermedad hepática moderada y grave.

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?

Hay otros estudios con pralsetinib aún en curso.

8. ¿Dónde puedo obtener más información?

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

- <https://doi.org/10.1186/ISRCTN38890848>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/metabolic-disorder/hepatic-insufficiency/a-study-to-evaluate-the-processing-by-the-body-and-safety-of-pra.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 el siguiente:

Estudio de fase I, abierto, de dosis única para evaluar la farmacocinética y la seguridad de pralsetinib en sujetos con insuficiencia hepática moderada o grave en comparación con sujetos sanos.

- El número de protocolo para este estudio es GP43163.
- El número internacional de ensayo clínico controlado, aleatorizado, normalizado (International Standard Randomized Controlled Trial Number, ISRCTN) que identifica a este estudio es 38890848.