

Resumen de los resultados de los ensayos clínicos

Estudio a largo plazo de un nuevo medicamento (galegenimab) en personas con un tipo de enfermedad ocular (atrofia geográfica secundaria a la degeneración macular asociada a la edad)

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

Sobre este resumen

En este documento se resumen los resultados de un ensayo clínico (denominado "estudio").

Este resumen está escrito para:

- Miembros del público
- Personas que participaron en el estudio

Este resumen se basa en la información de la que se disponía en el momento de su redacción.

El estudio se inició en noviembre de 2020 y se detuvo prematuramente (en noviembre de 2022). Esta decisión se tomó sobre la base del asesoramiento de un grupo especial de expertos, que examinaron los resultados de la galegenimab ya recogidos en varios estudios.

Ningún estudio puede decirnos todo acerca de los riesgos y los beneficios de un medicamento. Hacen falta muchas personas en varios estudios para saber todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de otros estudios con el mismo medicamento.

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

Damos las gracias a quienes participaron en este estudio

Las personas que participaron han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la atrofia geográfica secundaria a la degeneración macular asociada a la edad y al medicamento en estudio - galegenimab.

Contenido del resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quiénes participaron en este estudio?
3. ¿Qué pasó durante el estudio?
4. ¿Qué resultados se obtuvieron?
5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?
6. ¿Cómo ha contribuido este estudio a la investigación?
7. ¿Está previsto hacer otros estudios?
8. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Información principal sobre este estudio

- Este estudio se llevó a cabo para averiguar si el galegenimab podía ser seguro y tolerable cuando lo utilizaban durante mucho tiempo personas con atrofia geográfica secundaria a degeneración macular asociada a la edad.
- Las personas podían participar en este estudio si habían completado un estudio previo requerido.
- Todos los participantes en este estudio recibieron inyecciones de galegenimab en el ojo en estudio.
- En este estudio participaron 144 personas de un país, los EE. UU.
- El promotor del estudio decidió suspender todos los estudios en galegenimab. Este estudio se detuvo antes de que se completara. Esta decisión se tomó basándose en el asesoramiento de un grupo especial de expertos que no consideraron que los beneficios de este tratamiento fueran mayores que los riesgos.
- Doce (8 %) personas presentaron efectos secundarios y cuatro (3 %) personas presentaron efectos secundarios graves; se consideró que todos estos casos estaban causados por galegenimab.
- En el momento de redactar este resumen, no se habían previsto otros estudios sobre la atrofia geográfica en galegenimab.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

La degeneración macular asociada a la edad (DMAE) causa una pérdida irreversible de la visión. Las posibilidades de sufrir DMAE aumentan con la edad, a partir de los 50 años.

Hay dos formas del estadio avanzado de la DMAE: la DMAE seca y la DMAE húmeda.

En la actualidad existen dos tratamientos aprobados para la atrofia geográfica, el estadio avanzado de la DMAE seca. La enfermedad hace que las células del fondo del ojo (en la retina y el epitelio pigmentario asociado) degeneren gradualmente y mueran. Los nuevos tratamientos no restablecen la visión que ya se ha perdido, ni detienen por completo la progresión de la enfermedad. Por lo tanto, es importante encontrar nuevos medicamentos para esta área de la enfermedad.

Los investigadores han estado estudiando un medicamento que puede ser útil para la atrofia geográfica secundaria a la DMAE. Este estudio se realizó para conocer los efectos a largo plazo de este medicamento cuando se administra a personas.

¿Cuál fue el medicamento en estudio?

El medicamento en estudio se denominó "**galegenimab**". También se le conoce como "**FHTR2163**" y "**RO7171009**".

Galegenimab está compuesto por un anticuerpo, una proteína muy específica que decide unirse a otra proteína del organismo. Los científicos diseñaron la galegenimab para unirse e inactivar el HtrA1.

Los científicos vieron que el exceso de HtrA1 puede empeorar la enfermedad ocular. Los investigadores creían que "apagar" el HtrA1 frenaría la rapidez con la que la enfermedad empeoraba: "progresión" de la enfermedad. La galegenimab puede ser útil para el tratamiento de las personas con atrofia geográfica.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

Los investigadores habían administrado previamente tratamientos con galegenimab a personas sanas. También se evaluó en personas con atrofia geográfica secundaria a DMAE.

En este estudio, la principal pregunta que los investigadores querían responder fue:

1. ¿Las personas con atrofia geográfica secundaria a la DMAE podrían tolerar con seguridad el galegenimab cuando se utiliza durante un periodo prolongado?

What kind of study was this?

Estudio de fase II

En los estudios de fase 1, los investigadores aprenden sobre la cantidad de medicamento que las personas pueden tolerar y cuáles son los efectos secundarios. A continuación, si es seguro hacerlo, pasan a los estudios de fase 2. En los estudios de fase 2, el medicamento se administra a un grupo más amplio de pacientes y a quienes padecen la enfermedad. Los investigadores quieren averiguar si el tratamiento es eficaz para la enfermedad, y hacer un análisis más detallado de su seguridad.

Estudio de prolongación sin enmascaramiento (PSE)

Un estudio de prolongación sin enmascaramiento es un estudio de "prolongación", es una parte adicional de un estudio anterior en el que se analizó un nuevo medicamento. Se invita a participar en el estudio de prolongación sin enmascaramiento a las personas tratadas en un estudio anterior. Todo el mundo sabe quién está recibiendo qué medicamento, lo que lo hace "sin enmascaramiento".

Los estudios de PSE ayudan a los investigadores a obtener más información sobre el medicamento a lo largo del tiempo.

¿Cuándo y dónde tuvo lugar el estudio?

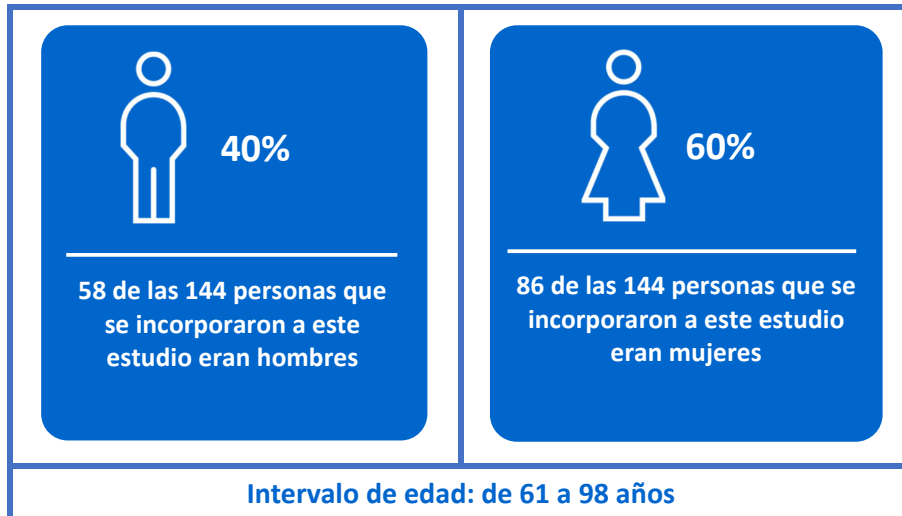
El estudio se inició en noviembre de 2020 y se detuvo prematuramente, en noviembre de 2022. El promotor del estudio decidió suspender todos los estudios en los que se analizara la galegenimab en pacientes con atrofia geográfica secundaria a DMAE.

El estudio se llevó a cabo en 49 centros de estudio de un país: EE. UU.

2. ¿Quién participó en este estudio?

Las personas que pudieron participar en este estudio (GR42558) presentaron atrofia geográfica secundaria a la DMAE asociada a la edad. Habían participado en el estudio anterior (GR40973) y lo habían completado.

Participaron en el estudio 144 personas. No todos los participantes del estudio anterior se incorporaron a este estudio.



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

- Ha finalizado el estudio anterior (GR40973)
- Satisface las condiciones exigidas por el estudio en el ojo en estudio y en el otro ojo, el ojo "no incluido en el estudio"
- Aceptaron usar métodos anticonceptivos si ellos o sus parejas podían quedar embarazadas

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

- Tenía una afección en el ojo en estudio o en otro ojo que no estaba permitida en este estudio
- Antecedentes de salud o enfermedades actuales que los médicos consideraron demasiado riesgosas para este estudio, o que interfirieron en la interpretación de los resultados del estudio
- Uso de medicamentos de una lista de medicamentos no permitidos en este estudio
- Mujeres embarazadas, que tengan intención de quedarse embarazadas en el plazo de un mes desde el tratamiento final o que estén amamantando

3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?

El personal del estudio realizó exámenes detallados de los ojos y del estado general de salud antes, durante y después de los tratamientos del estudio. El médico también llamó por teléfono a las personas para hacer preguntas sobre su salud ocular y su salud general.

Se obtuvieron muestras de sangre en varios momentos de valoración, antes y después de los tratamientos. El personal del estudio también recogió muestras de fluido de los ojos - "muestras de humor acuoso"- en varios momentos a lo largo del estudio.

Los pacientes de este estudio recibieron la misma dosis de galegenimab y con la misma frecuencia que en el estudio anterior. Algunas personas recibieron una dosis más baja que la del estudio anterior, pero la recibieron con la misma frecuencia: la administración se repitió al mismo tiempo que en el estudio anterior. El medicamento se administró mediante inyecciones en el ojo en estudio. Cada grupo recibió inyecciones una vez cada cuatro semanas, o una vez cada ocho semanas, dependiendo del grupo al que pertenecía la persona.

Algunas personas del estudio anterior recibieron tratamiento sin ningún medicamento del estudio. En este estudio se unieron a un grupo que recibió la medicina del estudio.

El tratamiento del estudio estaba previsto para 144 semanas (unos 3 años).

Los grupos de tratamiento fueron:

- 14 personas recibieron galegenimab, 10 miligramos (mg), administrados una vez cada 4 semanas
- 70 personas recibieron galegenimab, 20 mg, administrado una vez cada 4 semanas
- 12 personas recibieron galegenimab, 10 mg administrados una vez cada 8 semanas
- 48 personas recibieron galegenimab, 20 mg administrados una vez cada 8 semanas

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

El promotor suspendió el estudio antes de que alguien pudiera completarlo. Pero todos los participantes en el estudio recibieron al menos una dosis del tratamiento del estudio.

Pregunta 1: ¿Podrían los pacientes con atrofia geográfica secundaria a la DMAE tolerar de forma segura el galegenimab cuando se utiliza durante mucho tiempo?

El estudio de PSE (GR42558) y el estudio original o original (GR40973) finalizaron prematuramente. El promotor del estudio decidió suspender todos los estudios en galegenimab. Esta decisión se tomó basándose en el asesoramiento de un grupo especial de expertos, que analizaron los resultados ya disponibles de diferentes estudios. Pensaban que los beneficios potenciales del tratamiento no superaban a los posibles riesgos, por lo que sugerían que no valía la pena seguir desarrollando galegenimab.

En este apartado solo se muestran los resultados clave de este estudio. Puede encontrar información sobre todos los demás resultados en los sitios web al final de este resumen (véase la Sección 8).

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

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

- Se describen en este resumen porque el médico del estudio considera que los efectos secundarios estuvieron relacionados con los tratamientos del estudio.
- No todos los participantes del estudio sufrieron todos estos efectos secundarios.
- Los efectos adversos pueden ser de leves a muy graves y pueden ser diferentes en cada persona.
- Es importante estar al tanto de que los efectos secundarios informados en el presente son solo de este estudio. Por lo tanto, los efectos adversos que se muestran aquí pueden ser diferentes de los observados en otros estudios, o los que aparecen en el prospecto del medicamento.
- Los efectos secundarios graves y frecuentes se enumeran en las secciones siguientes.

Efectos secundarios graves

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

Durante este estudio, 4 de 144 personas (3 %) presentaron al menos un efecto adverso grave, que se consideró causado por el tratamiento del estudio, y que fueron:

- Daño en el nervio del ojo en estudio (**neuropatía óptica**)
- Inflamación de la sustancia gelatinosa en el ojo en estudio (**vitritis**)
- Inflamación dentro del ojo en estudio procedente de la capa media del ojo que causa enrojecimiento y dolor (**uveítis**)
- Enrojecimiento, hinchazón o dolor en la parte coloreada del ojo en estudio y zonas cercanas (**iridociclitis**)

Cuatro personas de este estudio fallecieron por motivos no relacionados con el tratamiento del estudio.

Cinco pacientes suspendieron el tratamiento debido a efectos secundarios graves. Cuatro personas cambiaron su dosis ("modificación de la dosis") o la suspendieron temporalmente ("interrupción de la dosis") debido a efectos secundarios graves.

Efectos adversos no graves más frecuentes

Durante este estudio, 12 de 144 personas (8 %) presentaron al menos un efecto secundario que los médicos consideraron causado por el tratamiento del estudio. Algunas personas tuvieron más de un efecto adverso.

- 4 personas presentaron iridociclitis en el ojo en estudio
- 3 personas tenían vitritis en el ojo en estudio
- 2 personas tenían puntos y líneas en la visión causados por cambios en la sustancia gelatinosa del interior del ojo (moscas volantes en el vítreo)
- 1 persona presentó sangre en la parte blanca del ojo (hemorragia conjuntival)
- 1 persona presentó una pérdida de parte del campo visual habitual (defecto del campo visual) en ambos ojos
- 1 persona presentó enrojecimiento, hinchazón o dolor en la parte coloreada del ojo (iritis)

Otros efectos secundarios

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

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

La información presentada aquí procede de un único estudio de 144 personas con atrofia geográfica secundaria a DMAE. Estos resultados ayudaron a los investigadores a aprender más sobre la galegenimab y la enfermedad ocular.

Ningún estudio puede decirnos todo acerca de los riesgos y los beneficios de un medicamento. Hacen falta muchas personas en varios estudios para saber todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de otros estudios con el mismo medicamento.

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

7. ¿Hay planes para otros estudios?

En el momento de redactar este resumen, todos los estudios en los que se analizó la presencia de atrofia geográfica secundaria a DMAE en la galegenimab fueron interrumpidos por el promotor. No se prevé realizar más estudios.

8. ¿Dónde puedo encontrar más información?

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

<https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT04607148>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/amd/a-study-assessing-the-long-term-safety-and-tolerability-81852.html>

¿A quién puedo contactar si tengo dudas sobre el estudio?

Si aún tiene dudas después de leer este resumen:

- Visite la plataforma ForPatients y complete el formulario de contacto - <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- Póngase en contacto 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 en el hospital o la clínica del estudio.

Si tiene preguntas sobre su propio tratamiento:

- Hable con el médico a cargo de su tratamiento.

¿Quién organizó y pagó este estudio?

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

Título completo del estudio y otra información de identificación

El título completo de este estudio es el siguiente:

Estudio clínico de prolongación sin enmascaramiento y multicéntrico para evaluar la seguridad y la tolerabilidad a largo plazo del medicamento "FHTR2163" en pacientes con atrofia geográfica secundaria a degeneración macular asociada a la edad

- El número de protocolo de este estudio es GR42558.
- El identificador ClinicalTrials.gov de este estudio es NCT04607148.