

Resultados del ensayo clínico: resumen para personas no especializadas

Estudio de los efectos a largo plazo del tratamiento con fenebrutinib en pacientes con urticaria crónica espontánea

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 que, en este documento, se denomina “estudio”. Este resumen se ha redactado para los siguientes destinatarios:

- Miembros del público.
- **Participantes:** estos son pacientes con urticaria crónica espontánea que participaron en el estudio actual.

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

El estudio comenzó en noviembre de 2018 y finalizó en octubre de 2019. Este resumen se redactó después de que finalizó el estudio.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Muchas personas se ofrecen como voluntarios en varios estudios para ayudarnos a 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. ¿Quién participó 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

Los pacientes que participaron han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la urticaria crónica espontánea y los efectos a largo plazo del medicamento del estudio.

Información clave sobre este estudio

- En este estudio, los pacientes con urticaria crónica espontánea (UCE) recibieron un medicamento experimental (fenebrutinib).
- Los pacientes de este estudio habían participado previamente en otro estudio que investigó el tratamiento con fenebrutinib y placebo.
- En el momento en que comenzó este estudio, el estudio anterior continuaba en curso para aquellos pacientes que se habían incorporado a ese estudio más tarde.
- En este estudio, los investigadores buscaban averiguar si el fenebrutinib era seguro usado a largo plazo.
- Este estudio se interrumpió de forma anticipada, casi al momento de finalización del estudio anterior.
- Los investigadores observaron que el estudio anterior proporcionaba suficiente información, por lo que no era necesario continuar con el estudio actual.
- Este estudio incluyó a 31 pacientes en los EE. UU.
- Este estudio halló que el fenebrutinib era seguro usado a largo plazo por los pacientes con UCE que se inscribieron en este estudio.
- Este informe se redactó después de que se interrumpió el estudio.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

La urticaria crónica espontánea (**UCE**) es una enfermedad “autoinmunitaria” en la que su propio sistema inmunitario daña a su organismo.

Los pacientes podrían tener ronchas (**urticaria**), que son protuberancias hinchadas que aparecen sin ningún motivo conocido. Otros pacientes pueden experimentar hinchazón debajo de la piel que se ve como inflamación y puede ser dolorosa (**angioedema**).

A los pacientes se les diagnostica UCE si presentan uno o ambos síntomas sin ningún motivo conocido y si los síntomas duran 6 semanas o más.

Hay varios medicamentos disponibles para tratar la UCE. Sin embargo, algunos pacientes no responden a los tratamientos disponibles (hasta 4 veces la dosis aprobada de la terapia con antihistamínicos). Los investigadores están intentando encontrar nuevos medicamentos que sean más eficaces.

El fenebrutinib es un medicamento experimental que bloquea una proteína denominada “**tirosina cinasa de Bruton**” o “**BTK**” (**Bruton’s tyrosine kinase**) de forma abreviada. Esto afecta a las células inmunitarias que causan enfermedades autoinmunitarias, como la UCE.

Los investigadores llevaron a cabo este estudio para observar los efectos a largo plazo del fenebrutinib, tanto buenos como malos, en pacientes con UCE.

¿Cuál fue el medicamento del estudio?

El **fenebrutinib**, también conocido como **GDC-0853**, es un medicamento que se ha administrado a personas en otros estudios para otras enfermedades autoinmunitarias. Así es como funciona el medicamento:

- El fenebrutinib bloquea una proteína denominada “**BTK**”.
- La BTK está presente en diferentes tipos de células inmunitarias en el organismo.
- Los investigadores creen que el bloqueo de la BTK hace que las células inmunitarias sean menos capaces de contribuir a la enfermedad.
- Los investigadores ya han probado diferentes dosis de fenebrutinib en seres humanos.
- El fenebrutinib ha mostrado beneficios en pacientes con enfermedades autoinmunitarias.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

Los investigadores realizaron este estudio para averiguar los efectos a largo plazo del fenebrutinib en pacientes con UCE.

Las preguntas principales que los investigadores querían responder fueron:

1. ¿El uso a largo plazo de fenebrutinib es seguro para los pacientes con UCE?

Otra pregunta que los investigadores querían responder fue:

2. ¿Puede el uso a largo plazo del fenebrutinib proporcionar mejoras en los síntomas de la UCE en los pacientes?

¿Qué tipo de estudio fue este?

Hay varias formas de describir este estudio:

- **Estudio de fase II**
Este estudio de fase II se llevó a cabo para averiguar si el medicamento del estudio (fenebrutinib) era seguro y eficaz para los pacientes. Este medicamento ya se había estudiado en estudios de fase I para encontrar la dosis segura para uso humano y en otros estudios de fase II para averiguar si era eficaz.
- **Estudio de extensión abierto**
Los investigadores y los pacientes sabían que todos los pacientes recibían el medicamento del estudio. Esto lo hizo un estudio “abierto”. Se trataba de un estudio de “extensión” porque los pacientes ya habían participado en un estudio anterior que investigaba el fenebrutinib. Este estudio continuó estudiando a los pacientes con UCE en el tratamiento con fenebrutinib durante más tiempo que el estudio anterior.

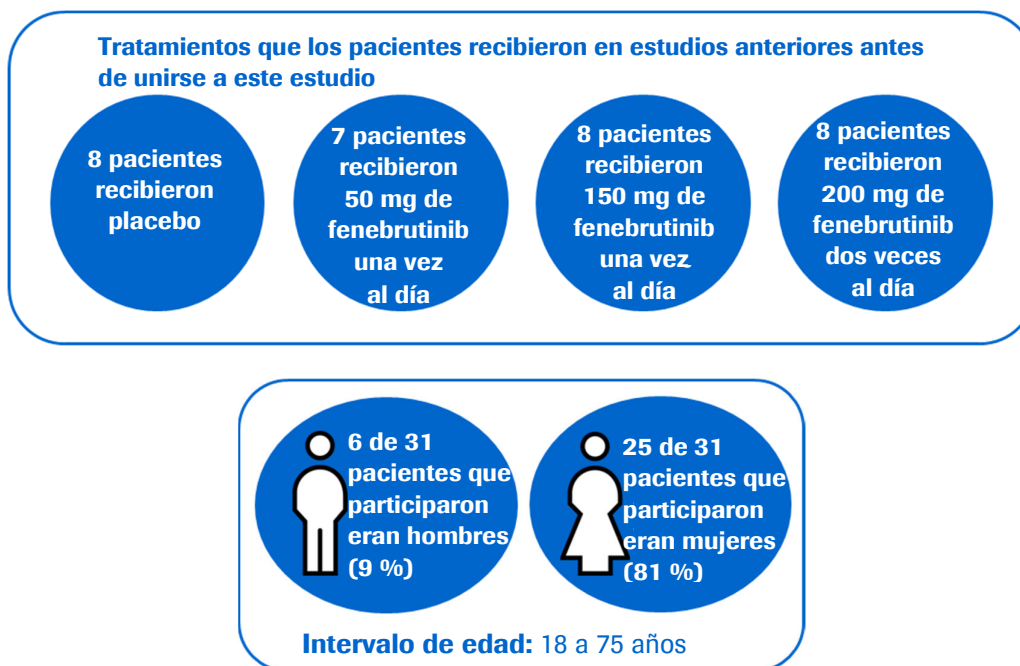
¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

El estudio comenzó en noviembre de 2018 y finalizó en octubre de 2019. El estudio tuvo lugar en 9 centros de los EE. UU. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

2. ¿Quién participó en este estudio?

Todos los pacientes de este estudio debían haber participado previamente en otro estudio de fenebutinib para pacientes con **UCE refractario**.

“UCE refractario al tratamiento” significa tener UCE que continúa mostrando síntomas de la enfermedad a pesar de tomar un antihistamínico (hasta 4 veces la dosis aprobada de antihistamínicos).



¿Qué se requirió para que los pacientes participaran en este estudio?

1. Los pacientes debían haber completado el estudio previo de fenebutinib antes de unirse a este.
2. Dar su consentimiento por escrito para ofrecerse como voluntario en este estudio.
3. Aceptar utilizar métodos de planificación familiar para evitar embarazos mientras participara en este estudio.

¿Qué afecciones descalificaban a los pacientes de participar en este estudio?

1. Mujeres en período de lactancia, embarazadas o que pretendían quedar embarazadas.
2. Pacientes que recibieron tratamiento para la UCE con ciertos tipos de medicamentos.
3. Pacientes que fueron vacunados con un virus vivo en las 6 semanas previas al inicio de este estudio.
4. Los pacientes que presentaban síntomas de infección o cualquier cambio importante en la salud desde la finalización del estudio anterior con fenebutinib.

3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

Se administró el “tratamiento” (**200 mg de fenebrutinib tomado dos veces al día**) a los pacientes **además de su medicamento habitual para la UCE** (hasta 4 veces la dosis aprobada de la terapia con antihistamínicos).

¿Qué ocurrió después de iniciar el tratamiento?

- Este estudio estaba previsto para 2 años de tratamiento.
 - Durante las primeras 12 semanas, los pacientes acudieron a la clínica una vez cada 4 semanas.
 - Después de las primeras 12 semanas, los pacientes acudieron a la clínica una vez cada 12 semanas.
- Durante las visitas a la clínica, los pacientes dieron muestras de sangre y se sometieron a otras pruebas para el estudio. Los pacientes respondieron preguntas para que los investigadores pudieran conocer los efectos del tratamiento.
- Durante el estudio, no se permitió a los pacientes cambiar la dosis del medicamento del estudio (tratamiento con fenebrutinib).
- Durante este estudio, los pacientes podían cambiar su medicamento habitual de UCE:
 - Durante las primeras 12 semanas, los pacientes recibieron su tratamiento con fenebrutinib además de su medicamento habitual para la UCE (hasta 4 veces la dosis aprobada de la terapia con antihistamínicos).
 - Después de las primeras 12 semanas, los pacientes podrían reducir o dejar de tomar su medicamento habitual de la UCE si el médico lo decide.

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

La mitad de los pacientes recibió el tratamiento del estudio durante más de 84 días (mediana del tiempo durante el tratamiento). El tiempo más prolongado en el tratamiento del estudio fue de 253 días.

Pregunta 1: ¿El uso a largo plazo de fenebrutinib es seguro para los pacientes con UCE?

Se pensó que el fenebrutinib fue bien tolerado por los pacientes de este estudio.

Pregunta 2: ¿Puede el uso a largo plazo del fenebrutinib proporcionar mejoras en los síntomas de la UCE en los pacientes?

Aunque el tratamiento con fenebrutinib mostró una mejora en los pacientes con UCE en el estudio anterior, el estudio actual se interrumpió de forma anticipada y no se analizaron los resultados de las mejoras de los pacientes.

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

Los efectos secundarios son problemas médicos no deseados (como dolor de cabeza) que se producen durante el estudio y están relacionados con el tratamiento administrado durante el estudio.

- No todos los pacientes de un estudio tienen todos o alguno de los efectos secundarios observados en el estudio.
- Los efectos secundarios frecuentes y los efectos secundarios graves se enumeran en las secciones siguientes.

Efectos secundarios más frecuentes

Hubo 5 pacientes (16 %) que notificaron un total de 11 efectos secundarios que se creyó que estaban relacionados con el tratamiento del estudio.

De los 5 pacientes, 2 pacientes interrumpieron el tratamiento y 1 paciente modificó su dosis debido a efectos secundarios.

Hubo dos efectos secundarios que fueron los más frecuentes y se observaron en dos pacientes cada uno.

- Los efectos secundarios más frecuentes fueron:
 - Resultados anómalos en los análisis de sangre de ALT (aumento de la alanina aminotransferasa en 2 pacientes).
 - Resultados anómalos en los análisis de sangre de AST (aumento de la aspartato aminotransferasa en 2 pacientes).

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.
- Durante este estudio no se produjeron muertes.

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

Este estudio investigó el tratamiento con fenebrutinib para pacientes con UCE a lo largo de un período más prolongado que en el estudio anterior.

Los investigadores determinaron que el uso a largo plazo de fenebrutinib era seguro para los pacientes con UCE inscritos en este estudio.

Este estudio se inició antes de que se completara el estudio UCE anterior. El estudio anterior finalizó y proporcionó resultados que indicaron que no era necesario continuar con este estudio actual. Por lo tanto, el estudio actual no se completó.

7. ¿Hay planes para realizar otros estudios?

El fenebrutinib se está estudiando para varias indicaciones y se pueden encontrar estudios en:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=fenebrutinib&cntry=&state=&city=&dist=>

Fenebrutinib también se conoce como “GDC-0853” y se pueden encontrar estudios en:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=GDC-0853&cntry=&state=&city=&dist=>

8. ¿Dónde puedo obtener más información?

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

- Registro de ensayos clínicos en los EE. UU.:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03693625>

¿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>
o póngase en contacto con un representante de 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.

¿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 extensión abierto en fase II para evaluar la seguridad y eficacia a largo plazo de fenebrutinib en pacientes inscritos previamente en un estudio de urticaria crónica espontánea de fenebrutinib”.

- El número de protocolo de este estudio es **GS40868**.
- El identificador en ClinicalTrials.gov de este estudio es **NCT03693625**.