

Resultados del ensayo clínico: resumen para personas no especializadas

Estudio de la seguridad de un nuevo medicamento (DCLL9718S) en pacientes con un tipo de cáncer sanguíneo (leucemia mielógena aguda)

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, nos referiremos al ensayo clínico como “estudio”.

Este resumen se ha redactado para los siguientes destinatarios:

- Miembros del público.
- Los pacientes que participaron en el estudio, denominados “participantes”.

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

El estudio comenzó en noviembre de 2017 y finalizó en julio de 2019. 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. Muchos pacientes 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.

- No debe tomar decisiones médicas 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 en este estudio han ayudado a los investigadores a recopilar información importante sobre la seguridad del medicamento del estudio cuando se administra a pacientes para el tratamiento de la leucemia (cáncer sanguíneo).

Información clave sobre este estudio

- Este estudio se hizo para averiguar cuál era la dosis segura para un nuevo medicamento (DCLL9718S).
- Se trató a dieciocho pacientes.
- Grupos de pacientes recibieron diferentes dosis del DCLL9718S.
- Los investigadores deseaban saber qué dosis o qué cantidad del medicamento del estudio era seguro administrar a los pacientes.
- El descubrimiento principal fue que no era seguro superar los 160 µg/kg.
- Ninguno de los tipos de cáncer de los pacientes tuvo una respuesta al medicamento en este estudio.
- Nueve pacientes (50 %) tuvieron un total de 37 efectos secundarios que se pensó que fueron causados por el medicamento del estudio.
- Los investigadores decidieron interrumpir el estudio. DCLL9718S no se desarrollará como tratamiento.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

Este estudio se realizó para probar la seguridad de un tratamiento experimental en pacientes con leucemia mielógena aguda (**LMA**).

La **LMA** es un tipo agresivo de cáncer sanguíneo.

Muchos pacientes responden al tratamiento para la LMA al principio. Sin embargo, la enfermedad puede volver (**recidiva**). Además, la enfermedad puede dejar de responder al tratamiento (se torna **refractaria**).

Los pacientes con LMA recidivante o refractaria necesitan medicamentos nuevos.

Los investigadores querían probar un nuevo medicamento del estudio, DCLL9718S, en pacientes con LMA recidivante o refractaria.

Los investigadores querían averiguar qué efectos tuvo el medicamento del estudio en los pacientes: bueno, malo o ninguno. Querían saber si se podía administrar a los pacientes a una dosis segura.

¿Cuál fue el medicamento del estudio?

- El **DCLL9718S** es un “conjugado de anticuerpo y fármaco” o “ADC” (antibody-drug conjugate): es un medicamento ligado a un anticuerpo.
- Los anticuerpos son proteínas que se unen a una “molécula” específica.
- CLL-1 es la “molécula” a la que se une el anticuerpo del DCLL9718S.
- **CLL-1** es una proteína expresada en determinadas células cancerosas (**blastocitos de LMA**).
- El DCLL9718S podría ser capaz de destruir las células cancerosas en pacientes con LMA al unirse a CLL-1.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

Los investigadores querían averiguar si el DCLL9718S era seguro para los pacientes con LMA.

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

1. ¿Cuál es la dosis segura? ¿Los efectos secundarios son tolerables cuando los pacientes reciben el tratamiento con DCLL9718S?

Otras preguntas que los investigadores deseaban responder incluyeron las siguientes:

2. ¿Hay alguna evidencia de que el medicamento del estudio tuvo un efecto sobre la enfermedad en pacientes con LMA?

¿Qué tipo de estudio fue este?

Este fue un estudio de “**Fase 1**”, lo que significa que este fue uno de los primeros estudios en seres humanos para DCLL9718S.

Además, se trataba de un estudio “**primero en seres humanos**”, lo que significa que esta fue la primera vez que se administró el medicamento del estudio a seres humanos.

Este estudio se consideró “**abierto**” debido a que los médicos y pacientes sabían qué medicamento y qué dosis recibían los pacientes.

Este fue un estudio de “**aumento gradual de la dosis**”, lo que significa que cada grupo nuevo de pacientes recibió dosis más altas del medicamento. Sin embargo, si un número determinado de pacientes sufría ciertos efectos secundarios después de recibir una dosis del medicamento, el siguiente grupo no recibiría una dosis más alta del medicamento.

¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

El estudio comenzó en noviembre de 2017 y finalizó en julio de 2019. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

El estudio se realizó en los Estados Unidos (5 centros) y Canadá (3 centros).

2. ¿Quién participó en este estudio?

Hubo **19 pacientes** que participaron en este estudio. Entre ellos, un paciente no recibió ningún medicamento porque tuvo una infección antes de iniciar el tratamiento de este estudio.

Pacientes:

- El paciente más joven tenía 19 años, mientras que el paciente mayor tenía 89 años.
- La mitad de los pacientes eran mayores de 72 años (edad mediana).
- Dieciséis pacientes (89 %) eran blancos.
- Más de la mitad de los pacientes (67 %) eran hombres y menos de la mitad de los pacientes (33 %) eran mujeres.

Los pacientes podían participar en este estudio si reunían los siguientes requisitos:

- Tenían al menos 18 años.
- Tenían una esperanza de vida de al menos 12 semanas.
- Su enfermedad cumplía una de las siguientes condiciones:
 - Empeoró (evolución de la enfermedad).
 - No respondió al tratamiento (al menos un tratamiento antileucémico).
 - Pacientes que tenían otro tipo de cáncer de la sangre que cambió y se convirtió en LMA.
- Tenían funcionamiento hepático, renal y sanguíneo (además de tener LMA).
- Los pacientes aceptaron utilizar métodos anticonceptivos si era necesario.

Los pacientes no podían participar en el estudio en los siguientes casos:

- Se habían sometido a un trasplante de órganos o trasplante de células madre.
- Su enfermedad de LMA había afectado el cerebro.
- Tenían ciertas enfermedades o infecciones presentes al momento del estudio.
- Habían recibido ciertos tipos de tratamientos para la LMA en momentos específicos relacionados con este estudio.
- Durante este estudio, tenían previsto someterse a una intervención quirúrgica mayor.
- A las madres que estaban amamantando o que estaban embarazadas no se les permitió participar en el estudio.

3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

En este estudio, los pacientes se incorporaron a un grupo de “aumento gradual de la dosis” para recibir el medicamento del estudio.

¿Cómo se administró el tratamiento?

- Los pacientes recibieron el medicamento del estudio una vez cada 3 semanas “por vía intravenosa” (por vía i.v. en la vena de la sangre).
- Los pacientes se incorporaron al estudio en diferentes momentos. Se incorporaron a diferentes “grupos de dosis del medicamento del estudio” comenzando con la dosis más baja.
- Solo se estudió un nivel de dosis del medicamento del estudio a la vez.
- Los pacientes se incorporaron al siguiente grupo de nivel de dosis superior solo si se consideró seguro hacerlo.
- Aquellos pacientes que se incorporaron al estudio antes recibieron dosis más bajas del medicamento del estudio, mientras que los pacientes que se incorporaron más tarde recibieron dosis más altas.
- La siguiente tabla muestra las diferentes dosis probadas y la cantidad de participantes en cada grupo:

Grupo de dosis del medicamento del estudio	Número de pacientes en este grupo
10 µg/kg	4 pacientes
20 µg/kg	3 pacientes
40 µg/kg	6 pacientes
80 µg/kg	3 pacientes
160 µg/kg	3 pacientes

¿Qué se hizo en el estudio?

Los médicos vieron a los pacientes de forma periódica, obtuvieron muestras de los pacientes para hacer análisis de laboratorio y también hicieron pruebas. Los médicos averiguaron cómo reaccionaban los pacientes al medicamento. Tomaron nota y trataron los efectos secundarios.

¿Qué cantidad de medicamento recibieron los pacientes?

Un paciente que se incorporó al grupo de dosis de 40 µg/kg no recibió tratamiento porque los investigadores descubrieron que el paciente presentaba una infección en el pulmón (infección pulmonar) antes de iniciar este estudio.

Los otros 18 pacientes recibieron al menos una dosis del medicamento del estudio.

¿Qué sucedió con los pacientes en el estudio?

Los 18 pacientes interrumpieron su tratamiento en el momento en el que finalizó el estudio. Los motivos para la interrupción fueron: empeoramiento de la enfermedad (14 pacientes, 78 %), ningún efecto sobre la enfermedad (2 pacientes, 11 %), decisión del médico (1 paciente 6 %) y traslado al paciente a cuidados paliativos (1 paciente, 6 %).

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Pregunta 1: ¿Cuál es la dosis segura? ¿Los efectos secundarios son tolerables cuando los pacientes reciben el tratamiento con DCLL9718S?

La mitad de los pacientes que recibieron tratamiento (9 pacientes, 50 %) experimentaron al menos un efecto secundario considerado relacionado con el tratamiento del estudio.

Dos de cada 3 pacientes (67 %) que recibieron la dosis más alta (160 µg/kg) mostraron cambios no deseados en la función de sus hígados. En un paciente, se consideró que este acontecimiento estaba causado por el DCLL9718S. En el otro paciente, el motivo de este acontecimiento no estaba claro.

En función de los efectos secundarios observados con la dosis de 160 µg/kg, no se probaron los niveles de dosis superiores.

Pregunta 2: ¿Hay alguna evidencia de que el medicamento del estudio tuvo un efecto sobre la enfermedad en pacientes con LMA?

Los investigadores observaron que los tipos de cáncer del paciente no respondieron al medicamento del estudio.

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

Los efectos secundarios (también conocidos como “reacciones adversas”) son problemas médicos no deseados (como un dolor de cabeza) que ocurren durante el estudio.

- Nadie en este estudio tuvo todos los efectos secundarios.
- Algunos pacientes presentaron algunos de los efectos secundarios.

Efectos secundarios más frecuentes

Nueve de los 18 pacientes (50 %) que recibieron al menos una dosis del tratamiento del estudio tuvieron un total de 37 efectos secundarios que se piensa que están causados por el medicamento del estudio.

A continuación, se enumeran los efectos secundarios más frecuentes observados en 2 pacientes (11 %) o más, y aquellos que se considera que fueron causados por el medicamento del estudio:

Efectos secundarios frecuentes causados por el medicamento del estudio	Cantidad de pacientes (y porcentajes) que tuvieron este efecto secundario
Ganas de vomitar (náuseas)	5 pacientes (28 %)
Calcio bajo en sangre (hipocalcemia)	2 pacientes (11 %)
No tener hambre (disminución del apetito)	2 pacientes (11 %)

Efectos secundarios graves

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

Todos los efectos secundarios graves que se creen que están relacionados con el medicamento del estudio se enumeran a continuación:

Nivel de dosis del medicamento del estudio	Efectos secundarios graves causados por el medicamento del estudio	Cantidad de pacientes (y porcentajes) que tuvieron este efecto secundario
10 µg/kg	Ninguno	-
20 µg/kg	Ninguno	-
40 µg/kg	Recuento bajo de plaquetas en sangre (trombocitopenia)	3 pacientes (60 %)
80 µg/kg	Fiebre y un bajo recuento de glóbulos blancos (neutropenia febril)	1 paciente (33 %)
160 µg/kg	Ninguno	-

Muertes

En este estudio se informó la muerte de 15 pacientes (83 %). Cinco pacientes murieron después de que empeorase su enfermedad. Aunque el medicamento del estudio de nuevo no tuvo nada que ver con las muertes de los otros 10 pacientes, no se registraron sus motivos individuales de muerte.

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?

Los resultados aquí presentados proceden de un único estudio de 19 pacientes con LNH. Dieciocho pacientes recibieron tratamiento con el medicamento del estudio, DCLL9718S.

Estos resultados ayudaron a los investigadores a aprender sobre los efectos del DCLL9718S.

Los resultados indicaron que cualquier beneficio de este medicamento no valía la pena el riesgo (efectos secundarios observados en las dosis probadas).

Este estudio se interrumpió. Este medicamento del estudio no se desarrollará para pacientes con LMA.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los de otros estudios con el mismo medicamento.

- Esto significa que no debe tomar decisiones de carácter médico 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 este momento, no hay planes para otros estudios que investiguen el DCLL9718S en pacientes con LMA.

8. ¿Dónde puedo obtener más información?

Puede obtener más información sobre este estudio en el sitio web que se indica a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03298516>

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

Si tiene alguna pregunta adicional después de leer este resumen:

- Visite la plataforma para pacientes y rellene el formulario de contacto <https://forpatients.roche.com/en/About.html>
- o, 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 abierto de fase I, de aumento gradual de la dosis, para evaluar la seguridad y tolerabilidad del DCLL9718S en pacientes con leucemia mielógena aguda (LMA) recidivante o refractaria o DCLL9718S en combinación con azacitidina en pacientes con LMA no tratada previamente no adecuada para quimioterapia de inducción intensiva”.

- El número de protocolo de este estudio es GO39902.
- El identificador en ClinicalTrials.gov de este estudio es NCT03298516.