

## Risultati della sperimentazione clinica – Riassunto

### Studio volto a valutare la sicurezza e l'efficacia di idasanutlin in pazienti con un tipo di tumore del sangue chiamato policitemia vera (PV) non trattabile con la terapia standard

Vedere la fine del riassunto per il titolo completo dello studio.

#### Informazioni sul riassunto

Il presente riassunto dei risultati di una sperimentazione clinica (chiamata, ai fini di questo documento, "studio") è stato redatto per:

- la popolazione e
- i partecipanti dello studio.

Il riassunto si basa su informazioni note al momento della sua stesura (aprile 2021). È possibile che ad oggi siano disponibili maggiori informazioni.

Lo studio è iniziato a febbraio 2018 e si è concluso anticipatamente a marzo 2020 poiché troppi pazienti hanno manifestato effetti indesiderati e il farmaco in studio non è stato tanto efficace quanto previsto. Il riassunto è stato redatto dopo la fine della sperimentazione.

Nessuno studio è in grado da solo di fornire informazioni su tutti i rischi e i benefici di un determinato farmaco. Per ottenere tutte le informazioni necessarie servono molte persone partecipanti ad altrettanti studi. I risultati di questa sperimentazione potrebbero essere diversi da quelli di altri studi condotti con lo stesso medicinale.

- Pertanto, eventuali decisioni non devono basarsi unicamente sul presente riassunto; rivolgetevi sempre al medico prima di prendere qualsiasi decisione in merito al vostro trattamento.

#### Indice del riassunto

1. Informazioni generali sullo studio
2. Chi ha partecipato allo studio?
3. Cos'è accaduto durante lo studio?
4. Quali sono stati i risultati dello studio?
5. Quali sono stati gli effetti indesiderati?
6. In che modo lo studio ha contribuito alla ricerca?
7. Sono previsti altri studi?
8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

#### Grazie ai pazienti che hanno partecipato allo studio

I partecipanti hanno aiutato i ricercatori a rispondere a interrogativi importanti sulla PV e sul farmaco in studio, idasanutlin.

## Informazioni principali sullo studio

Perché è stato condotto questo studio?

- Questo studio è stato condotto per testare se idasanutlin potesse essere un trattamento alternativo sicuro ed efficace per i pazienti con PV non trattabili con idrossiurea o la cui PV non aveva risposto al precedente trattamento con idrossiurea.
- Nella sperimentazione, i pazienti hanno assunto idasanutlin sotto forma di compressa da ingerire una volta al giorno al mattino per i primi cinque giorni di un ciclo di 28 giorni.
- Lo studio si è interrotto anticipatamente poiché troppi pazienti hanno manifestato effetti indesiderati e il farmaco in studio non è stato tanto efficace quanto previsto. All'epoca, nello studio erano incluse 27 persone in quattro paesi.

Quali risultati sono stati ottenuti?

- Dallo studio è principalmente emerso che idasanutlin non è stato tanto efficace quanto previsto nel trattamento della PV.
- Idasanutlin ha controllato il livello di globuli rossi nel sangue di 9 pazienti su 16 (56%) disponibili per l'analisi dopo 32 settimane di trattamento con il farmaco.
- In totale, 1 paziente su 13 (8%) che prima del trattamento presentava un ingrossamento della milza ha ottenuto una risposta composita con il trattamento con idasanutlin (controllo dei livelli di globuli rossi e riduzione dell'ingrossamento della milza).
- Nel complesso, 8 pazienti su 16 (50%) disponibili per l'analisi hanno ottenuto una risposta ematologica completa (controllo delle percentuali di globuli rossi, globuli bianchi e piastrine nel sangue) con il trattamento con idasanutlin.

Quali sono stati gli effetti indesiderati?

- Nel complesso, 3 pazienti su 27 (11%) hanno sviluppato almeno un effetto indesiderato grave.
- Tutti i partecipanti dello studio (27 pazienti su 27) hanno manifestato almeno un effetto indesiderato non considerato grave.

## 1. Informazioni generali sullo studio

### Perché è stato condotto questo studio?

La policitemia vera, chiamata anche PV, è un tipo di tumore del sangue.

La PV causa una produzione eccessiva di globuli rossi da parte dell'organismo. Il sangue risulta pertanto denso e scorre più lentamente attraverso i vasi sanguigni, aumentando il rischio di ostruzione (formazione di un coagulo di sangue), ictus o attacco cardiaco. Può anche registrarsi un ingrossamento della milza, in quanto quest'ultima deve compiere uno sforzo maggiore per filtrare il sangue più denso. Tale ingrossamento può arrecare ai pazienti con PV una fastidiosa sensazione di gonfiore a livello dell'addome, con possibili conseguenze sull'appetito.<sup>1</sup>

La PV è una malattia rara: colpisce solo circa 22 persone su 100.000 ed è più comune tra i soggetti di età superiore a 40 anni.<sup>1</sup> Nella maggior parte dei casi, la PV viene diagnosticata con un esame del sangue che ricerca un'alterazione (mutazione) di un gene chiamato *JAK2*. Questa alterazione genetica induce le cellule del midollo osseo a produrre una quantità eccessiva di globuli rossi. La mutazione si manifesta nel corso della vita: non viene ereditata dai genitori ed è molto raro che possa essere trasmessa ai figli.<sup>1</sup>

I pazienti con PV a basso rischio di coaguli di sangue e complicanze possono essere trattati tramite salasso,<sup>2</sup> una tecnica attraverso la quale il medico sottrae una certa quantità di sangue da una vena per agevolare lo scorrimento del sangue restante.

La terapia standard per i pazienti con PV maggiormente esposti al rischio di complicanze è rappresentata da una compressa di idrossiurea.<sup>3</sup> L'idrossiurea è un agente antitumorale che rallenta la velocità con cui vengono prodotte nuove cellule, compresi i globuli rossi. Sebbene contribuisca a fluidificare il sangue, l'idrossiurea può causare effetti indesiderati tra cui nausea, vomito, diarrea e condizioni cutanee dolorose.<sup>4</sup> I pazienti più giovani vengono talvolta sottoposti a un trattamento alternativo, che consiste in iniezioni di interferone alfa sotto la pelle.<sup>5</sup> Ai pazienti che non rispondono a idrossiurea o interferone alfa possono essere successivamente somministrate compresse di ruxolitinib (un farmaco che blocca i segnali del gene *JAK2* mutato) in alcuni paesi in cui è approvato questo trattamento.<sup>6</sup>

Se interrompono queste terapie standard, i pazienti ricominciano a produrre una quantità eccessiva di globuli rossi e i sintomi si ripresentano. Questo studio è stato concepito per testare se le compresse di idasanutlin potessero essere un trattamento alternativo efficace per la PV sulla base di un piccolo studio precedente che ne ha evidenziato gli effetti promettenti sui livelli di globuli rossi.<sup>7</sup>

### Qual era il farmaco oggetto di studio?

Il farmaco oggetto di studio era idasanutlin:

- Idasanutlin agisce attivando i segnali che inducono la morte cellulare.
- Questa caratteristica può indicare che potrebbe essere efficace nell'arrestare la crescita e la diffusione delle cellule tumorali.

## Qual era l'obiettivo dei ricercatori?

---

- I ricercatori hanno svolto questo studio per stabilire l'efficacia di idasanutlin nei pazienti non trattabili con idrossiurea o la cui PV non aveva risposto al precedente trattamento con idrossiurea (vedere paragrafo 4 "Quali sono stati i risultati dello studio?").
- I ricercatori intendevano inoltre determinare la sicurezza del farmaco verificando quanti pazienti manifestassero effetti indesiderati durante il trattamento con idasanutlin nel corso dello studio (vedere paragrafo 5 "Quali sono stati gli effetti indesiderati?").

I principali interrogativi a cui i ricercatori desideravano dare una risposta erano i seguenti:

1. Quanto è efficace idasanutlin nel controllare i livelli di globuli rossi e nel ridurre l'ingrossamento della milza nei pazienti con PV?
2. Quanto è efficace idasanutlin nel controllare le percentuali di cellule del sangue nei pazienti con PV?

Di seguito si riportano altri interrogativi a cui i ricercatori desideravano dare una risposta:

3. Quanto è sicuro idasanutlin nel trattamento dei pazienti con PV?

## Di che genere di studio si è trattato?

---

La sperimentazione consisteva in uno studio "di fase II". Ciò significa che prima di essa idasanutlin era già stato testato su un certo numero di persone con PV o trombocitemia essenziale (TE, un altro tipo di tumore del sangue). In questo studio di fase II, idasanutlin è stato assunto solo da pazienti con PV per raccogliere maggiori informazioni sulla sua efficacia e sicurezza.

Lo studio è stato condotto "in aperto", ossia tutti i pazienti e i medici sapevano che il farmaco oggetto di valutazione era idasanutlin.

## Quando e dove è stato condotto lo studio?

---

Lo studio è iniziato a febbraio 2018 e si è interrotto anticipatamente poiché troppi pazienti hanno manifestato effetti indesiderati e il farmaco in studio non è stato tanto efficace quanto previsto. Questo riassunto presenta i risultati dello studio ottenuti fino alla sua interruzione a marzo 2020, quando sono stati raccolti i risultati finali.

### Linea temporale dello studio

Febbraio 2018	Settembre 2019	Marzo 2020
Inizio dello studio – somministrazione del farmaco in studio al primo paziente	Arruolamento dell'ultimo paziente	Interruzione dello studio – raccolta dei risultati finali

Lo studio è stato condotto presso nove centri sperimentali in quattro paesi. Questi paesi erano Australia (un centro sperimentale), Canada (un centro sperimentale), Italia (due centri sperimentali) e Stati Uniti (cinque centri sperimentali).

- Australia
- Canada
- Italia
- Stati Uniti

## 2. Chi ha partecipato allo studio?

Hanno partecipato allo studio 27 pazienti con PV non trattabili con idrossiurea o la cui PV non aveva risposto al precedente trattamento con idrossiurea. Dei 27 pazienti che hanno partecipato allo studio, 20 (74%) non erano stati precedentemente trattati con ruxolitinib, mentre 7 (26%) erano stati sottoposti a precedente trattamento con ruxolitinib.

I partecipanti dello studio avevano un'età compresa tra 34 e 74 anni. Nel complesso, 16 pazienti su 27 (59%) erano di sesso maschile, mentre 11 su 27 (41%) erano di sesso femminile.

59%	41%
16 partecipanti su 27 erano di sesso maschile	11 partecipanti su 27 erano di sesso femminile
Fascia d'età: 34-74 anni	

I pazienti potevano partecipare allo studio:

- Se avevano un'età superiore a 18 anni.
- Se avevano ricevuto una diagnosi di PV in base ad alcuni criteri.
- Se non erano trattabili con idrossiurea o non avevano risposto al precedente trattamento con idrossiurea.

I pazienti non potevano partecipare allo studio:

- Se avevano sviluppato un coagulo di sangue significativo nei tre mesi precedenti l'inizio dello studio.
- Se in passato avevano manifestato alcune altre condizioni mediche.
- Se in precedenza avevano ricevuto alcuni farmaci e/o avevano manifestato effetti indesiderati significativi associati ad altri farmaci.
- Se erano in gravidanza o allattamento.

### 3. Cos'è accaduto durante lo studio?

Durante lo studio, ai pazienti è stato somministrato idasanutlin.

Il trattamento è stato assunto sotto forma di compressa da ingerire una volta al giorno al mattino per i primi cinque giorni di un ciclo di 28 giorni.

I partecipanti dello studio avrebbero dovuto assumere i trattamenti per un massimo di 2 anni o fino all'interruzione della sperimentazione. Una volta assunta l'ultima dose del trattamento, ai partecipanti è stato chiesto di tornare presso il centro sperimentale dopo circa 4 settimane per verificare le loro condizioni generali di salute.

Lo studio si è interrotto anticipatamente poiché troppi pazienti hanno manifestato effetti indesiderati e il farmaco in studio non è stato tanto efficace quanto previsto.

Screening		Trattamento		Follow-up
Selezione dei partecipanti dello studio	Trattamento precedente con ruxolitinib	7 pazienti trattati con idasanutlin		I medici hanno continuato a monitorare le condizioni di salute dei partecipanti fino a 4 settimane dopo l'ultima dose del trattamento
	Nessun trattamento precedente con ruxolitinib	20 pazienti trattati con idasanutlin		
Febbraio 2018 Inizio dello studio			Marzo 2020 Interruzione dello studio	

Visto che lo studio si è interrotto anticipatamente, il simbolo riportato nel disegno dello studio ( ) indica il momento in cui sono state raccolte le informazioni contenute nel riassunto (marzo 2020).

## 4. Quali sono stati i risultati dello studio?

### Domanda 1. Quanto è efficace idasanutlin nel controllare i livelli di globuli rossi e nel ridurre l'ingrossamento della milza nei pazienti con PV?

Nel corso di tutto lo studio, i ricercatori hanno valutato la capacità del trattamento con idasanutlin di controllare i livelli di globuli rossi nel sangue. Poiché alcuni pazienti con PV presentano anche un ingrossamento della milza, i ricercatori hanno altresì esaminato la capacità di idasanutlin di ridurre l'ingrossamento della milza in questi soggetti. Il miglioramento di entrambi questi criteri è stato definito risposta composita.

Come accade comunemente negli studi volti a valutare farmaci per la PV, i ricercatori hanno fissato a 32 settimane dopo l'inizio del trattamento (dopo otto cicli di trattamento) il punto temporale critico per stabilire l'efficacia di idasanutlin in base a questi parametri.

#### Per i pazienti non precedentemente sottoposti a trattamento con ruxolitinib

A 32 settimane, 6 pazienti su 11 (55%) disponibili per l'analisi avevano sotto controllo i livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin e non hanno necessitato di salasso:

- Di questi 11 pazienti, 9 (82%) presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento. Di questi 9 pazienti, 4 (44%) hanno evidenziato il controllo dei livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin, ma nessuno (0%) ha registrato una risposta composita al farmaco (controllo dei globuli rossi e riduzione dell'ingrossamento della milza).
- Di questi 11 pazienti, 2 (18%) non presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento. Entrambi i pazienti (100%) hanno evidenziato il controllo dei livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin.

#### Per i pazienti precedentemente sottoposti a trattamento con ruxolitinib

A 32 settimane, 3 pazienti su 5 (60%) disponibili per l'analisi avevano sotto controllo i livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin e non hanno necessitato di salasso:

- Di questi 5 pazienti, 4 (80%) presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento. Di questi 4 pazienti, 3 (75%) hanno evidenziato il controllo dei livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin, ma solo 1 (25%) ha registrato una risposta composita al farmaco (controllo dei globuli rossi e riduzione dell'ingrossamento della milza).
- Di questi 5 pazienti, 1 (20%) non presentava un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento. Questo paziente non ha evidenziato alcun controllo dei livelli di globuli rossi nel sangue dopo il trattamento con idasanutlin.

Questi risultati iniziali hanno suggerito che idasanutlin non sarebbe un trattamento efficace per i pazienti con PV. Il grafico riportato di seguito mostra le percentuali di pazienti che hanno ottenuto un beneficio dal trattamento con idasanutlin.

Controllo dei livelli di globuli rossi alla Settimana 32	
	Percentuale di pazienti (%)
Tutti i pazienti (16 pazienti)	9 pazienti (56%) 7 pazienti (44%)
Nessun trattamento precedente con ruxolitinib (11 pazienti)	6 pazienti (55%) 5 pazienti (45%)
Trattamento precedente con ruxolitinib (5 pazienti)	3 pazienti (60%) 2 pazienti (40%)
Controllo dei globuli rossi	Nessun controllo dei globuli rossi

Risposta composita alla Settimana 32: controllo dei livelli di globuli rossi e riduzione dell'ingrossamento della milza	
	Percentuale di pazienti (%)
Tutti i pazienti (13 pazienti)	1 paziente (8%) 12 pazienti (92%)
Nessun trattamento precedente con ruxolitinib (9 pazienti)	9 pazienti (100%)
Trattamento precedente con ruxolitinib (4 pazienti)	1 paziente (25%) 3 pazienti (75%)
Risposta composita	Nessuna risposta composita



## Domanda 2. Quanto è efficace idasanutlin nel controllare le percentuali di cellule del sangue nei pazienti con PV?

I ricercatori hanno anche valutato la capacità di idasanutlin di controllare le percentuali di diverse cellule del sangue nei pazienti con PV. In questo caso si parla di risposta ematologica completa: i ricercatori hanno esaminato se idasanutlin abbia controllato i livelli di globuli rossi, globuli bianchi e piastrine nel sangue, e se ciò abbia annullato la necessità di trattamento tramite salasso.

Ancora una volta, il punto temporale critico per stabilire l'efficacia di idasanutlin in base a questo parametro è stato fissato a 32 settimane dopo l'inizio del trattamento.

### Per i pazienti non precedentemente sottoposti a trattamento con ruxolitinib

A 32 settimane, 5 pazienti su 11 (45%) disponibili per l'analisi registravano una risposta ematologica completa:

- Di questi 5 pazienti, 3 (60%) presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento.
- Di questi 5 pazienti, 2 (40%) non presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento.

### Per i pazienti precedentemente sottoposti a trattamento con ruxolitinib

A 32 settimane, 3 pazienti su 5 (60%) disponibili per l'analisi registravano una risposta ematologica completa:

- Tutti questi 3 pazienti (100%) presentavano un ingrossamento della milza prima di iniziare il trattamento.

Il grafico riportato di seguito mostra che 8 pazienti su 16 disponibili per l'analisi (50%) hanno registrato una risposta ematologica completa.

Risposta ematologica completa alla Settimana 32	
	Percentuale di pazienti (%)
Tutti i pazienti (16 pazienti)	8 pazienti (50%) 8 pazienti (50%)
Nessun trattamento precedente con ruxolitinib (11 pazienti)	5 pazienti (45%) 6 pazienti (55%)
Trattamento precedente con ruxolitinib (5 pazienti)	3 pazienti (60%) 2 pazienti (40%)
Risposta ematologica completa	Nessuna risposta ematologica completa

## 5. Quali sono stati gli effetti indesiderati?

Gli effetti indesiderati (anche noti come “reazioni avverse”) sono problemi medici collaterali (per es. mal di testa) che si verificano durante lo studio:

- Vengono illustrati nel riassunto in quanto il medico dello studio ritiene che gli effetti indesiderati fossero correlati al trattamento della sperimentazione.

Nei seguenti paragrafi vengono riportati gli effetti indesiderati gravi e comuni.

### Effetti indesiderati gravi

---

Un effetto indesiderato è considerato “grave” se è potenzialmente letale, necessita di cure ospedaliere o causa problemi persistenti.

Durante questo studio, circa 3 pazienti su 27 trattati con idasanutlin (11%) hanno sviluppato almeno un effetto indesiderato grave. Tutti e 3 i pazienti non erano stati precedentemente sottoposti a trattamento con ruxolitinib. I ricercatori hanno scoperto che tre effetti indesiderati gravi erano probabilmente correlati al trattamento con idasanutlin, nello specifico:

- Fibrillazione atriale (battito cardiaco irregolare e spesso accelerato).
- Flutter atriale (battito cardiaco accelerato regolare).
- Nausea.

Nella sperimentazione non sono stati segnalati decessi.

Durante lo studio, 10 pazienti su 27 (37%) hanno manifestato effetti indesiderati che hanno comportato un aggiustamento della dose di idasanutlin. Tra questi, il più comune è stato la nausea: 5 pazienti su 27 (19%) hanno manifestato nausea e hanno dovuto modificare la dose di idasanutlin per questo motivo. Inoltre, 13 pazienti (48%) hanno manifestato effetti indesiderati che hanno comportato la sospensione del trattamento con idasanutlin. Tra questi, il più comune è stato ancora una volta la nausea: 6 pazienti su 27 (22%) hanno manifestato nausea e hanno dovuto sospendere il trattamento di idasanutlin per questo motivo.

Durante lo studio, 1 paziente (4%) ha interrotto il trattamento con idasanutlin come diretta conseguenza di effetti indesiderati di flutter atriale.

Altri 5 pazienti (19%) hanno interrotto il trattamento con idasanutlin per decisione del medico. Altri 14 pazienti (52%) hanno infine deciso autonomamente di ritirarsi dal trattamento con idasanutlin. I ricercatori suppongono che, nella maggior parte dei casi, questi ritiri fossero legati a pazienti che hanno manifestato effetti indesiderati persistenti di nausea (vedere paragrafo successivo).

### Effetti indesiderati più comuni

---

Durante lo studio, tutti i 27 pazienti (100%) trattati con idasanutlin hanno manifestato un effetto indesiderato correlato al farmaco non considerato grave.

Gli effetti indesiderati più comuni sono illustrati nella seguente tabella, la quale riporta gli effetti indesiderati che si sono manifestati in almeno il 20% dei 27 pazienti che hanno partecipato allo studio.

Effetti indesiderati più comuni segnalati nello studio	Pazienti trattati con idasanutlin (27 pazienti in totale)
Nausea	89% (24 su 27)
Diarrea	67% (18 su 27)
Vomito	33% (9 su 27)
Affaticamento	30% (8 su 27)
Dolore addominale	22% (6 su 27)
Stipsi	22% (6 su 27)

### Altri effetti indesiderati

Per informazioni su altri effetti indesiderati (non riportati nei precedenti paragrafi), consultate i siti web indicati alla fine del riassunto (vedere paragrafo 8).

## 6. In che modo lo studio ha contribuito alla ricerca?

Le informazioni presentate in questo documento sono tratte da un unico studio condotto su 27 pazienti con PV. Questi risultati hanno aiutato i ricercatori a conoscere meglio la PV e idasanutlin.

Lo scopo di questo studio era stabilire se idasanutlin potesse trattare in modo sicuro ed efficace i pazienti con PV non trattabili con idrossiurea o la cui PV non aveva risposto al precedente trattamento con idrossiurea.

Dato che 20 pazienti su 27 (74%) hanno interrotto il trattamento con idasanutlin anticipatamente e i risultati iniziali non hanno evidenziato un chiaro beneficio apportato da questa terapia, lo studio si è concluso prima del previsto.

Anche se idasanutlin ha prodotto un effetto positivo in alcuni soggetti, i ricercatori erano preoccupati per la frequenza con cui il farmaco ha causato effetti indesiderati nei pazienti con PV. Poiché la PV è una malattia a lungo termine (cronica) che può necessitare di trattamento continuo per un lungo periodo di tempo, è importante che le terapie non provochino effetti indesiderati con cui potrebbe essere difficile convivere.

Nessuno studio è in grado da solo di fornire informazioni su tutti i rischi e i benefici di un determinato farmaco. Per ottenere tutte le informazioni necessarie servono molte persone partecipanti ad altrettanti studi. I risultati di questa sperimentazione potrebbero essere diversi da quelli di altri studi condotti con lo stesso medicinale. Pertanto, eventuali decisioni non devono basarsi unicamente sul presente riassunto; rivolgetevi sempre al medico prima di prendere qualsiasi decisione in merito al vostro trattamento.

## 7. Sono previsti altri studi?

Al momento della stesura del presente riassunto, non sono previsti altri studi volti a valutare idasanutlin nel trattamento della PV.

## 8. Dove posso trovare maggiori informazioni?

Per maggiori informazioni sullo studio, consultate i siti web indicati di seguito:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03287245>.
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2017-000861-58/results>.
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/cancer/pv/a-study-to-evaluate-the-efficacy--safety--pharmacokinetics-and-p.html>.

### Chi posso contattare in caso di domande sullo studio?

---

In caso di altre domande dopo la lettura del riassunto:

- Contattate un rappresentante della sede locale di Roche.

Se avete partecipato allo studio e avete delle domande sui risultati:

- Rivolgetevi al medico o al personale dello studio presso l'ospedale o la clinica in cui è stata condotta la sperimentazione.

In caso di domande sul vostro trattamento:

- Rivolgetevi al vostro medico curante.

### Chi ha organizzato e finanziato lo studio?

---

Lo studio è stato organizzato e finanziato da F. Hoffmann-La Roche Ltd, con sede a Basilea, in Svizzera.

### Titolo completo dello studio e altre informazioni identificative

---

Il titolo completo dello studio è: "Studio di fase II, a braccio singolo e in aperto volto a valutare l'efficacia, la sicurezza, la farmacocinetica e la farmacodinamica di idasanutlin in monoterapia in pazienti con policitemia vera resistente/intollerante all'idrossiurea".

- Il numero di protocollo dello studio è: NP39761.
- Il codice identificativo ClinicalTrials.gov dello studio è: NCT03287245.
- Il numero EudraCT dello studio è: 2017-000861-58.

---

<sup>1</sup> [https://www.lls.org/sites/default/files/file\\_assets/FS13\\_PolycythemiaVera\\_FactSheet\\_final5.1.15.pdf](https://www.lls.org/sites/default/files/file_assets/FS13_PolycythemiaVera_FactSheet_final5.1.15.pdf) - ultima consultazione: 21 aprile 2021

<sup>2</sup> Griesshammer, *et al.* Ann Hematol 2019

<sup>3</sup> Finazzi e Barbui. Leukemia 2008

<sup>4</sup> <https://www.macmillan.org.uk/cancer-information-and-support/treatments-and-drugs/hydroxycarbamide> - ultima consultazione: 21 aprile 2021

<sup>5</sup> How and Hobbs. Cancers (Basilea) 2020

<sup>6</sup> Masciulli, *et al.* Blood Adv 2020

<sup>7</sup> Mascarenhas, *et al.* Blood 2019