

## Resumen de los resultados del estudio clínico

### Un estudio que analiza la seguridad del baloxavir marboxil en niños menores de 1 año con influenza (miniSTONE-1)

Véase el final del resumen para consultar el título completo del estudio.

#### Acerca de este resumen

Este es un resumen de los resultados de un estudio clínico (llamado “estudio” en este documento) – escrito para:

- el público en general y
- personas que participaron en el estudio.

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

El estudio comenzó en enero de 2019 y finalizó en julio de 2023. Este resumen se redactó una vez finalizado el estudio.

Ningún estudio por sí solo nos puede informar todo sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita un gran número de personas en muchos estudios para determinar todo lo que se necesita saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes a los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones con base en solo este estudio – hable siempre con su médico antes de tomar cualquier decisión sobre el tratamiento de su hijo.**

#### Contenido del resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quiénes participaron en este estudio?
3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?
4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?
5. ¿Qué aportes ha hecho este estudio a la investigación?
6. ¿Hay planes para llevar a cabo otros estudios?
7. ¿Dónde puedo encontrar más información?

#### Agradecemos a las personas que participaron en el estudio

Las personas que han participado han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la influenza y el medicamento estudiado (baloxavir marboxil), que podría tener beneficios para el público en general.

## Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para ver si baloxavir marboxil es seguro para su uso en niños menores de 1 año.
- Este estudio incluyó a 48 niños en 7 países (Costa Rica, Finlandia, México, Polonia, Sudáfrica, España y EE. UU.)
- El hallazgo principal fue que el baloxavir marboxil era tan seguro para los niños menores de 1 año como para los niños mayores y los adultos
- Ningún niño participante presentó efectos secundarios serios relacionados con baloxavir marboxil

## 1. Información general sobre este estudio

### ¿Por qué se llevó a cabo este estudio?

La influenza, también llamada gripe, es una enfermedad común causada por una infección con el virus de la gripe. Los síntomas comunes incluyen fiebre, tos, dolor de garganta, malestar general y fatiga.

La mayoría de las personas se recuperan de la gripe en una semana sin necesidad de consultar a un médico. Algunas veces, la gripe puede resultar en afecciones más serias (complicaciones) tales como inflamación de los pulmones (neumonía) o intoxicación de la sangre (septicemia). Con frecuencia la gripe afecta a los niños y es más probable que ellos desarrollen complicaciones que los adultos.

Existen muchos medicamentos de venta sin receta que se pueden utilizar para tratar los síntomas de la gripe, pero estos no tratan la causa, la infección viral. Los tratamientos antivirales atacan el virus de la gripe directamente. Estos pueden ser recetados por un médico o farmacéutico. Cada año millones de personas a nivel mundial necesitan tratamiento para la gripe.

Baloxavir marboxil es un tratamiento antiviral para la influenza que funciona de manera diferente a otros antivirales. Este ha demostrado ser eficaz para el tratamiento de la gripe en adultos y niños de al menos 1 año de edad. El estudio analizó qué tan seguro es baloxavir marboxil en niños menores de 1 año.

### ¿Cuál era el medicamento en investigación?

El enfoque de este estudio fue en medicamento denominado “baloxavir marboxil”

- Se pronuncia “ba-lox-av-ir mar-box-il”
- El baloxavir marboxil actúa impidiendo que el virus de la gripe haga copias de sí mismo en el cuerpo
- Esto quiere decir que la gripe es menos seria y los niños se recuperan más rápido cuando son tratados con baloxavir marboxil

### ¿Qué querían descubrir los investigadores?

**La pregunta principal que los investigadores querían responder fue:**

¿Cuántos niños presentaron efectos secundarios (problemas médicos que suceden durante el estudio debido al tratamiento con baloxavir marboxil)

### ¿Qué tipo de estudio fue este?

Este fue un estudio de “fase 3”. Esto significa que este amplió sobre estudios anteriores para investigar sobre los efectos secundarios del baloxavir marboxil en niños menores de 1 año. A continuación, se puede decidir si el tratamiento puede ser aprobado para que los médicos lo administren a niños muy pequeños.

Este fue un estudio “abierto”. Esto significa que tanto las personas que participaron en el estudio como los médicos del estudio conocían el medicamento del estudio que se les estaba administrando a los niños.

### ¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

El estudio comenzó en enero de 2019 y finalizó en julio de 2023. Este resumen se redactó una vez finalizado el estudio.

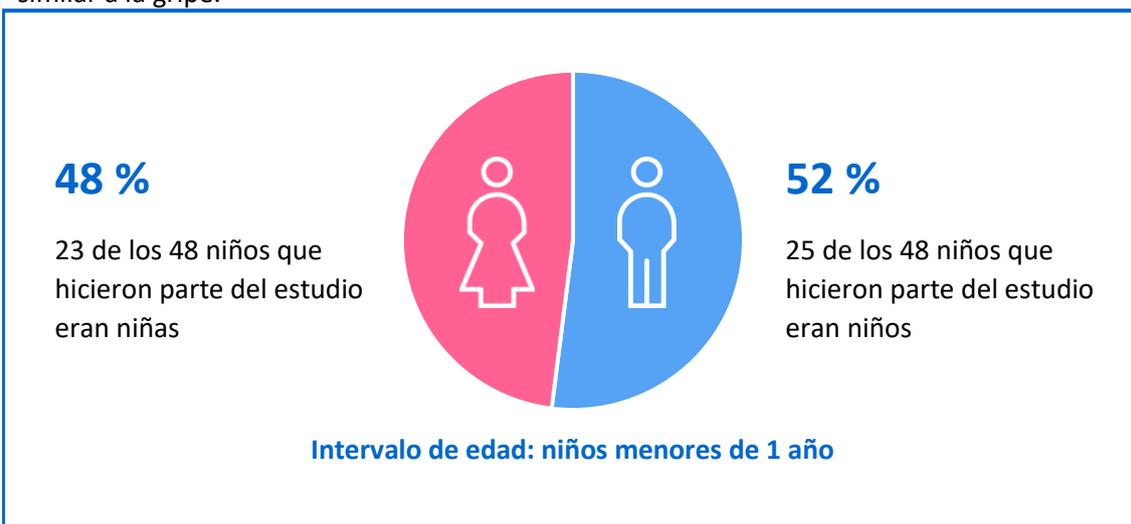
El estudio se llevó a cabo en 15 centros del estudio en los 7 países que se muestran en el siguiente mapa;

- Costa Rica
- Finlandia
- México
- Polonia
- Sudáfrica
- España
- EE. UU.



## 2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

En este estudio, participaron 48 niños menores de 1 año con una infección por gripe o similar a la gripe.



Los niños podían participar en el estudio si:

- Eran menores de 1 año
- Sus padres/cuidadores estuvieron de acuerdo en que podían participar en el estudio
- Fueron diagnosticados con gripe, con base en el criterio médico de los síntomas y un resultado positivo de una prueba de gripe
- Tiene un resultado negativo para la prueba de COVID-19 en los 2 días siguientes a la consulta con el médico
- Consultaron a un médico dentro de los 4 días a tener síntomas de gripe

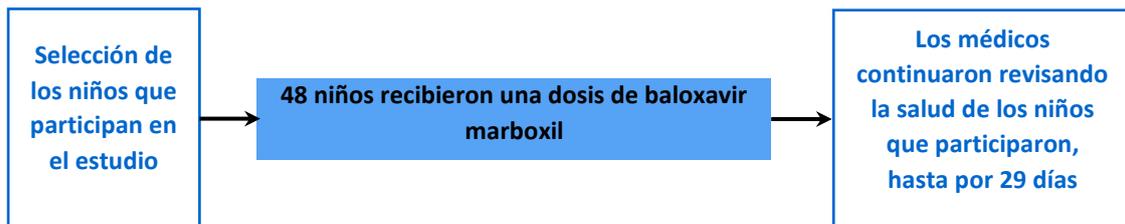
Lo niños no podían participar en el estudio si:

- Necesitaban tratamiento para la gripe (u otra enfermedad) en un hospital
- Se les había administrado otro tratamiento que podría afectar la eficacia del baloxavir marboxil
- Nacieron prematuramente o pesaron menos de 2,5 kg

### 3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?

Durante el estudio, a todos los niños que participaron se les administró una dosis única de baloxavir marboxil en forma de gránulos mezclados con agua por vía oral. La cantidad administrada dependía de su peso corporal.

Una vez finalizado el estudio, se pidió a los padres o cuidadores de los niños participantes que volvieran a su centro del estudio para realizar más visitas, con el fin de comprobar la salud general de estos niños. A continuación encontrará más información sobre lo que ocurrió en el estudio.



## 4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

### Pregunta principal: ¿Cuántos niños presentaron efectos secundarios debido al tratamiento con baloxavir marboxil?

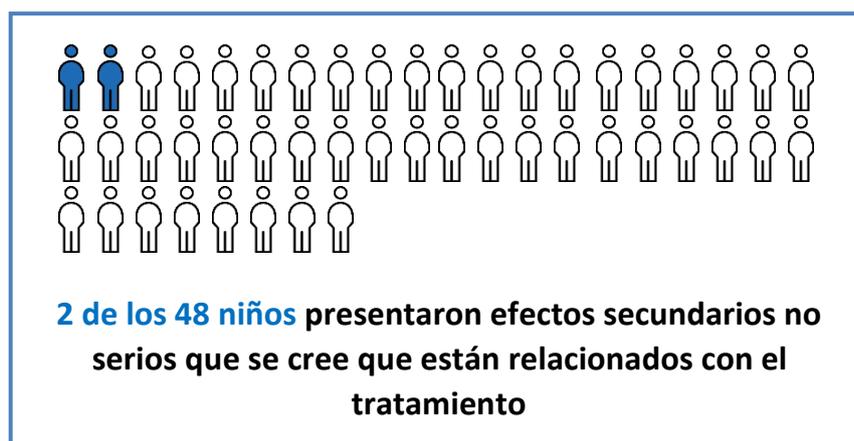
Los efectos secundarios son problemas médicos que se presentan durante el estudio.

Los efectos secundarios no serios son problemas médicos (como sensación de mareo) durante el estudio. Los efectos secundarios serios son aquellos que causan hospitalización no planificada (u hospitalización durante más tiempo de lo previsto) o ponen en peligro la vida, causan discapacidad a largo plazo o la muerte. Solo se muestran los efectos secundarios que los médicos pensaban que estaban relacionados con el medicamento del estudio.

No todos los niños en este estudio presentaron un efecto secundario.

Ningún niño que hizo parte de este estudio presentó efectos secundarios serios relacionados con el tratamiento del estudio.

De los 48 niños de este estudio, 2 (4 %) presentaron efectos secundarios no serios que se pensó que estaban relacionados con el tratamiento. Estos efectos secundarios fueron diarrea.



Durante el estudio, ninguno de los niños tratados con baloxavir marboxil murió debido a efectos secundarios que podrían haber estado relacionados con el medicamento del estudio.

Ninguno de los niños tratados con baloxavir marboxil dejó de recibir el medicamento del estudio debido a los efectos secundarios.

Esta sección solo muestra los resultados clave de este estudio. Puede encontrar información sobre los demás resultados del estudio en las páginas web al final de este resumen (véase la sección 7).

## 5. ¿Qué aportes ha hecho este estudio a la investigación?

La información que se presenta aquí es de un solo estudio de 48 niños menores de 1 año con gripe. Estos resultados ayudaron a los investigadores a aprender más sobre la gripe y el baloxavir marboxil, lo que podría conducir a mejores tratamientos para el público en general.

Los hallazgos clave del estudio son que el baloxavir marboxil es generalmente seguro en niños menores de 1 año y que no hubo efectos secundarios serios relacionados con el tratamiento. Esto está en consonancia con la seguridad conocida del baloxavir marboxil en niños mayores, adolescentes y adultos.

Ningún estudio por sí solo nos puede informar todo sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita un gran número de personas en muchos estudios para determinar todo lo que se necesita saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes a los de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones con base en solo este resumen – hable siempre con su médico antes de tomar cualquier decisión sobre el tratamiento de su hijo.**

## 6. ¿Hay planes para llevar a cabo otros estudios en niños?

Todavía se están realizando estudios con baloxavir marboxil.

CENTERSTONE es un estudio que analiza el efecto del baloxavir marboxil para detener la propagación de la influenza en personas de 5 a 64 años.

PEBBLESTONE es un estudio sobre el baloxavir marboxil en niños de 1 a 11 años, en el que se analiza la resistencia al virus de la influenza, que es cuando se producen cambios dentro de un virus que pueden hacer que el tratamiento antiviral sea menos eficaz.

Puede encontrar más información sobre estos estudios en:

- <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03969212>
- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT06094010>

## 7. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Puede encontrar más información sobre este estudio (miniSTONE-1) en las páginas web que se presentan a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03653364>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002154-70/FI>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>

## ¿A quién puedo contactar si tengo preguntas sobre este estudio?

Si tiene preguntas adicionales después de leer este resumen:

- Visite la plataforma ForPatients y complete el formulario de contacto – <https://forpatients.roche.com/en/trials/infectious-diseases/influenza/study-to-assess-the-safety--pharmacokinetics--and-effic-62594.html>
- Póngase en contacto con un representante en su oficina local de Roche.

Si su hijo participó en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- Hable con el médico del estudio

Si tiene preguntas sobre el tratamiento de su hijo:

- Hable con el médico a cargo del tratamiento de su hijo

### **¿Quién organizó y pagó el estudio?**

---

Este estudio fue organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd, que tiene su sede principal en Basilea, Suiza.

### **Título completo del estudio y otra información de identificación**

---

El título completo del estudio es: Estudio para evaluar la seguridad, farmacocinética y eficacia de baloxavir marboxil en pacientes pediátricos sanos desde el nacimiento hasta <1 año con síntomas parecidos a los de la influenza

Este estudio es conocido como “miniSTONE-1”.

- El número de protocolo para este estudio es: CP40559
- El identificador ClinicalTrials.gov para este estudio es: NCT03653364
- El número de EudraCT para este estudio es: 2018-002154-70