

Resumen de los resultados del ensayo clínico

Estudio para examinar la seguridad a largo plazo de un medicamento, efmarodococina alfa, en personas con colitis ulcerosa

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, se denomina “estudio”).

Este resumen se ha redactado para los siguientes destinatarios:

- Miembros del público
- Las personas que participaron en el estudio

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

El estudio comenzó en enero de 2019 y finalizó en julio de 2022. 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. Se necesitan muchas personas en varios estudios para 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. ¿Quiénes participaron 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

Las personas que participaron ayudaron a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la colitis ulcerosa (CU) y efmarodococina alfa, el medicamento del estudio.

Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para averiguar si el medicamento del estudio era seguro y podía tolerarse cuando se utilizaba a largo plazo.
- Todos los participantes de este estudio recibieron la misma dosis del medicamento del estudio, efmardococina alfa.
- Este estudio incluyó a 128 personas de 14 países.
- El hallazgo principal fue que los efectos secundarios de efmardococina alfa se encontraban en un nivel aceptable.
- Una persona (1 %) tuvo un efecto secundario grave causado por el medicamento del estudio.
- Cuarenta y tres personas (34 %) tuvieron efectos secundarios que no eran graves pero que se pensó que eran causados por el medicamento del estudio.
- Este estudio se interrumpió de forma anticipada porque el medicamento que se estaba estudiando no funcionó tan bien como se esperaba para la CU.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

La colitis ulcerosa (CU) afecta al colon. Es un ejemplo de enfermedad inflamatoria intestinal (EII), en la que la inflamación dura mucho tiempo.

La CU se asocia a hemorragia a través del recto, dolor de estómago, diarrea y diarrea sanguinolenta. Existen muchos medicamentos disponibles para tratar la CU, algunos de los cuales son corticoesteroides, inmunodepresores (azatioprina, 6-mercaptopurina y metotrexato), factor de necrosis antitumoral (TNF) y tratamiento antiintegrina.

Varios de los medicamentos funcionan suprimiendo el sistema inmunitario. Aunque son útiles para controlar la CU, desafortunadamente, las personas pueden tener efectos secundarios debido al sistema inmunitario suprimido.

Los investigadores están tratando de encontrar medicamentos más seguros que no supriman el sistema inmunitario. Los medicamentos que pueden impedir que la enfermedad empeore serán útiles especialmente para que los pacientes no requieran cirugía.

La efmardococina alfa es un nuevo medicamento que se está probando. Se ha administrado a personas con CU en otros estudios. No suprime el sistema inmunitario.

Este estudio se llevó a cabo para averiguar la seguridad a largo plazo del uso de efmardococina alfa en personas. Este estudio incluyó a personas que ya habían utilizado efmardococina alfa durante un corto plazo en otro estudio.

¿Cuál era el medicamento del estudio?

Un medicamento llamado “efmardococina alfa” fue el objetivo de este estudio.

- Este medicamento también se conoce como “UTTR1147A”.
- La efmardococina alfa es un medicamento fabricado mediante la conexión (fusión) de dos proteínas diferentes, una de las cuales es IL22, que tiene propiedades antiinflamatorias.
- Se está probando la efmardococina para averiguar si podría ser útil para las personas con CU.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

Los investigadores habían realizado previamente un estudio para comparar la efmarodococina alfa con un medicamento existente (vedolizumab) y un placebo.

Muchas personas del estudio anterior se incorporaron al estudio actual, una vez finalizado el estudio anterior.

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

1. ¿Hasta qué punto fue seguro usar efmarodococina alfa a largo plazo?

¿Qué tipo de estudio fue este?

Este fue un **estudio de extensión abierto**.

Los investigadores y las personas del estudio (**participantes del estudio**) sabían qué tratamiento estaban recibiendo los participantes en este estudio. Como todo el mundo lo sabía, fue un “**estudio abierto**”.

Los investigadores habían analizado la seguridad de la efmarodococina alfa en personas con CU en un estudio anterior. El estudio actual fue un “**estudio de extensión**” porque los investigadores querían seguir estudiando los efectos de la efmarodococina alfa en las personas del estudio anterior. Las personas del estudio anterior (GA39925) se incorporaron a este estudio (GA40209).

¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

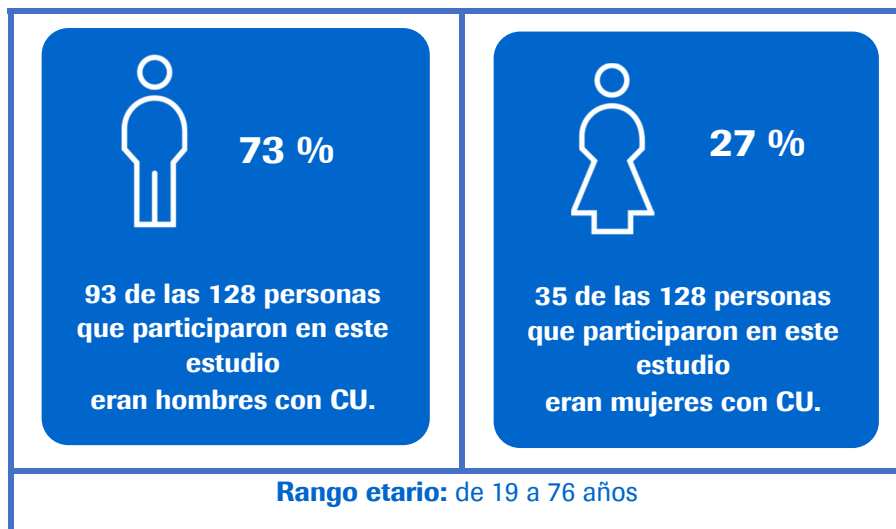
El estudio comenzó en enero de 2019 y finalizó en julio de 2022. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

El estudio tuvo lugar en 66 centros del estudio en 14 países:

- Polonia (17 centros del estudio)
- Ucrania (17 centros del estudio)
- Serbia (7 centros del estudio)
- Alemania (5 centros del estudio)
- Rusia (5 centros del estudio)
- Italia (4 centros del estudio)
- Grecia (3 centros del estudio)
- Bulgaria (2 centros del estudio)
- Georgia (1 centro del estudio)
- Irlanda (1 centro del estudio)
- Moldavia (1 centro del estudio)
- España (1 centro del estudio)
- Reino Unido (1 centro del estudio)
- Estados Unidos (1 centro del estudio)

2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

Ciento veintiocho personas con CU recibieron al menos una dosis del medicamento del estudio.



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

- Habían participado en un estudio anterior sobre efmardococina alfa: estudio GA39925.
- Pudieron cumplir los requisitos del estudio actual. Uno de los requisitos era usar métodos anticonceptivos mientras tomaba el medicamento del estudio.

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

- Cumplieron las condiciones para interrumpir el tratamiento del estudio en el estudio anterior.
- Interrumpieron el tratamiento del estudio y se retiraron del estudio anterior (GA39925), antes de que pudieran ser aptos para este estudio.
- No acataron las instrucciones exigidas en el estudio GA39925. Por ejemplo:
 - No visitaron el centro del estudio en la fecha programada.
 - No se mantuvieron al día con la toma de los medicamentos necesarios.
- Mujeres embarazadas o en periodo de lactancia con intención de quedarse embarazadas en un periodo determinado después del tratamiento del estudio.
- Cualquier cambio en el estado de salud de una persona después de incorporarse al estudio GA39925.
- Uso de tratamientos no permitidos en este estudio.

3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

¿Todos recibieron el tratamiento?

- Las personas de este estudio podían presentar “**remisión clínica**”, cuando la enfermedad de la CU no provocaba síntomas o signos importantes.
- Solo se permitió recibir el tratamiento del estudio a las personas sin remisión clínica.
- La remisión clínica podía presentarse en las personas al inicio de este estudio o en cualquier momento durante el estudio.
- Los investigadores atendieron a personas en diferentes momentos durante el estudio para averiguar si habían logrado la remisión clínica.

¿Cuál fue el tratamiento?

- Las personas de este estudio recibieron efmarodococina alfa en una dosis de 60 microgramos por kilogramo de peso corporal (60 µg/kg), administrada una vez cada 4 semanas. Se administró por vía intravenosa, a través de un tubo IV en una vena, en el centro del estudio.

¿Cuánto duró el tratamiento?

- Los investigadores tenían previsto observar a personas en este estudio durante unos dos años, hasta la semana 104.
- El tratamiento se podía interrumpir en cualquier momento en los siguientes casos:
 - Si había remisión clínica.
 - Si la enfermedad empeoraba.
 - Si el promotor, los investigadores o las personas del estudio decidían interrumpir el tratamiento.

El estudio se detuvo de forma anticipada porque el promotor decidió detener el desarrollo de efmarodococina alfa para la CU. Después de que los participantes recibieran los últimos tratamientos, se les pidió que regresaran al centro del estudio unas visitas más para controlar su salud general.

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

De las 128 personas que recibieron al menos una dosis del tratamiento del estudio, 28 personas (22 %) completaron el estudio.

Cien personas interrumpieron el tratamiento del estudio. El motivo principal fue la “falta de eficacia”, lo que significa que el medicamento no fue útil. Este fue el caso de 53 personas (41 %). Otras 21 personas interrumpieron el tratamiento del estudio porque el promotor interrumpió el estudio.

Pregunta 1: ¿Hasta qué punto fue seguro usar efmarodococina alfa a largo plazo?

Los investigadores buscaron efectos secundarios resultantes del tratamiento del estudio. Examinaron a los participantes del estudio en el centro del estudio. Les hicieron preguntas y recogieron muestras de sangre para análisis de laboratorio.

Los resultados de este estudio mostraron que los efectos secundarios de la efmarodococina alfa estaban en un nivel aceptable. Las personas del estudio toleraron efmarodococina alfa a un nivel aceptable.

- Una persona (1 %) tuvo un efecto secundario grave que los investigadores pensaron que era causado por el tratamiento del estudio.
- Cuarenta y tres personas (34 %) tuvieron efectos secundarios no graves que los investigadores pensaron que era causado por el tratamiento del estudio.

Esta sección solo muestra los resultados clave de este estudio. Puede encontrar información sobre todos los demás resultados en los sitios web al final de este resumen (consulte la Sección 8).

5. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

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

- Se describirán en este resumen si el médico del estudio consideró que los efectos secundarios estaban relacionados con los tratamientos del estudio.
- No todas las personas de algún estudio tuvieron todos los efectos secundarios.
- Los efectos secundarios pueden ser de leves a muy graves y pueden variar de una persona a otra.
- Es importante ser consciente de que los efectos secundarios informados aquí proceden de este único estudio. Por lo tanto, los efectos secundarios indicados aquí pueden ser distintos de los observados en otros estudios, o de los que aparecen en los prospectos del medicamento.
- Si en este estudio se presentaron efectos secundarios graves y frecuentes, se enumerarán en las siguientes secciones.

Efectos secundarios graves

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

Durante este estudio, una persona (1 %) tuvo efectos secundarios graves que los médicos del estudio pensaron que fueron provocados por el tratamiento del estudio. La persona presentó un aumento en dos niveles diferentes de proteínas en sangre, indicado en los resultados de los análisis de sangre (aumento de amilasa y aumento de lipasa). Los efectos secundarios indicaron que había un problema en el páncreas. Los efectos secundarios desaparecieron (se resolvieron) durante el estudio.

Nadie de este estudio murió como resultado de efectos secundarios que podrían haber estado relacionados con los medicamentos del estudio.

Durante el estudio, dos personas (2 %) decidieron interrumpir el tratamiento con efmarodococina alfa debido a los efectos secundarios que se cree que fueron causados por este medicamento del estudio.

Efectos secundarios más frecuentes

Durante este estudio, 43 personas (34 %) tuvieron un efecto secundario que no se consideró grave, pero se cree que fue provocado por el tratamiento del estudio.

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en dos o más personas se muestran en la siguiente tabla. Algunas personas tuvieron más de un efecto secundario, lo que significa que se incluyen en más de una fila en la tabla.

Efectos secundarios frecuentes	Cantidad de personas con el efecto secundario
Piel seca	30 personas (23 %)
Picazón en la piel (prurito)	7 personas (6 %)
Descamación de la piel (exfoliación)	1 persona (2 %)
Labios secos	4 personas (3 %)
Aumento de las proteínas en sangre (aumento de la alanina aminotransferasa)	2 personas (2 %)
Aumento de proteínas en sangre (aumento de lipasa)	2 personas (2 %)
Fiebre (pirexia)	2 personas (2 %)
Sequedad de ojos, mucosa o piel (xerosis)	2 personas (2 %)
Dolor de cabeza	2 personas (2 %)

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?

La información que se presenta aquí es de un solo estudio de 128 personas con CU. Estos resultados ayudaron a los investigadores a obtener más información sobre la CU y la efmardococina alfa.

Hubo efectos secundarios graves y no graves, que se consideraron causados por la efmardococina alfa. Los efectos secundarios fueron de un nivel aceptable. Las personas del estudio toleraron efmardococina alfa a un nivel aceptable.

El estudio se interrumpió de forma anticipada porque el promotor decidió no desarrollar efmardococina alfa para la CU. El medicamento que se estaba estudiando no funcionó tan bien como se esperaba para la CU.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Se necesitan muchas personas en varios estudios para 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.**

7. ¿Hay planes para realizar otros estudios?

En el momento de redactar este resumen, no estaba previsto realizar más estudios que analizaran la efmardococina alfa como agente único en la colitis ulcerosa.

8. ¿Dónde puedo obtener más información?

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

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT03650413>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2017-004997-32/results>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/ulcerative-colitis/an-extension-study-to-evaluate-the-long-term-safety-and-37359.html>

¿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>
- 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 el siguiente:

Estudio de extensión abierto en fase II para evaluar la seguridad y la tolerabilidad a largo plazo de UTR1147A en pacientes con colitis ulcerosa o enfermedad de Crohn de moderada a grave

- El estudio se conoce como “SERENGETI”.
- El número de protocolo de este estudio es GA40209.
- El identificador de ClinicalTrials.gov para este estudio es NCT03650413.
- El número EudraCT de este estudio es 2017-004997-32.