

Resumen de los resultados del ensayo clínico

Estudio de un nuevo medicamento (RO7303359) en personas con un tipo de enfermedad ocular (atrofia geográfica secundaria a la degeneración macular asociada con la edad)

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 diciembre de 2020 y finalizó en enero de 2023. 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 han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre una enfermedad ocular (atrofia geográfica secundaria a la degeneración macular asociada con la edad) y el medicamento estudiado (RO7303359).

Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para averiguar hasta qué punto era seguro administrar un nuevo medicamento (RO7303359) a las personas. El medicamento se probó en personas con un tipo de enfermedad ocular: atrofia geográfica (AG) secundaria a la degeneración macular asociada con la edad (DMAE).
- Los investigadores querían saber más sobre los efectos secundarios de RO7303359 en los ojos y en el cuerpo. El objetivo era encontrar la dosis más alta que las personas podían tolerar.
- Los investigadores también querían observar si había alguna actividad, si RO7303359 estaba funcionando.
- Este estudio incluyó a 37 personas en 13 centros del estudio de los EE. UU.
- El hallazgo principal fue que nadie tuvo efectos secundarios graves que afectaran los ojos o la salud en general. Una persona experimentó un efecto secundario no grave en el ojo estudiado, que se consideró como causado por RO7303359. Todas las dosis probadas en este estudio fueron tolerables en función de los efectos secundarios observados en el estudio.
- Los investigadores no observaron ninguna actividad de RO7303359 en el ojo. En función de este estudio, los investigadores decidieron detener el desarrollo de RO7303359 para la AG.

1. Información general sobre este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

La degeneración macular asociada con la edad (DMAE) provoca una pérdida de visión irreversible. Las probabilidades de padecer DMAE aumentan con la edad, a partir de los 50 años.

Existen dos formas de la etapa avanzada de la DMAE: la DMAE seca y la DMAE húmeda.

Actualmente existen dos tratamientos aprobados para la atrofia geográfica (AG), la etapa avanzada de la DMAE seca. La enfermedad provoca que las células de la parte posterior del ojo, en la retina y el epitelio pigmentario retiniano asociado, se degeneren y mueran gradualmente. Los nuevos tratamientos no restauran la visión que ya se ha perdido ni detienen por completo la progresión de la enfermedad. Por lo tanto, es importante encontrar nuevos medicamentos para esta parte de la enfermedad.

Los investigadores han estado estudiando un medicamento que puede ser útil para la AG secundaria a la DMAE. Este estudio se realizó para conocer los efectos secundarios de este medicamento cuando se administra a personas. Fue la primera vez que se administró el medicamento del estudio a seres humanos.

¿Cuál fue el medicamento del estudio?

Este estudio se realizó para obtener información sobre “**RO7303359**”. Este medicamento del estudio también se llama **anti-IL-33 Fab**.

RO7303359 actúa en el organismo uniéndose a un tipo de proteína humana (citocina) llamada “interleucina-33” o “**IL-33**”.

Varios tipos de células del cuerpo producen IL-33, incluidas las células de la parte posterior del ojo (epitelio pigmentario retiniano).

Cuando RO7303359 se une a IL-33, IL-33 ya no puede estar activa en el ojo. Los investigadores creen que bloquear la IL-33 podría ser una estrategia para el tratamiento de la AG secundaria a la DMAE.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

Las preguntas principales que los investigadores querían responder fueron:

1. ¿Cuáles fueron los efectos secundarios en el ojo y en el cuerpo de una dosis única de RO7303359?
2. ¿Cuál fue la dosis más alta de RO7303359 que las personas podían tolerar?

Otra pregunta que los investigadores querían responder fue:

3. ¿Hubo alguna evidencia de que RO7303359 fuera útil para la AG secundaria a la DMAE?

¿Qué tipo de estudio fue este?

Estas son algunas de las características de este estudio.

Estudio de fase I

Este fue un estudio de “fase I”, lo que significa que se trataba de un estudio inicial que analizaba el RO7303359. Un pequeño número de personas con AG, secundaria a DMAE, recibieron tratamientos. Los investigadores realizaron preguntas y pruebas médicas a las personas para averiguar más sobre los tratamientos.

Estudio de dosis única ascendente (SAD)

Las personas que se incorporaron a este estudio fueron asignadas a un grupo. El primer grupo de personas recibió la dosis más baja del medicamento del estudio. En adelante, cada grupo nuevo recibió la siguiente dosis más alta. La decisión de aumentar la dosis en el siguiente grupo se tomó después de revisar los resultados de seguridad de las personas que ya habían sido tratadas en los grupos de dosis más bajas.

Estudio de expansión

Una vez que los investigadores ya probaron diferentes dosis, seleccionaron una o dos dosis más altas para seguir probando. Para recopilar más datos, se amplió el estudio y se incorporaron personas a los grupos de dosis seleccionados. Con más personas, hubo una mayor probabilidad de ver efectos secundarios. Tener más personas en el estudio también permitió a los investigadores investigar en mayor profundidad si bloquear IL-33 podría ser una estrategia para el tratamiento de la AG.

Estudio abierto

Los investigadores y las personas que participaron en el estudio sabían que recibían RO7303359. Esto lo convirtió en un estudio “abierto”.

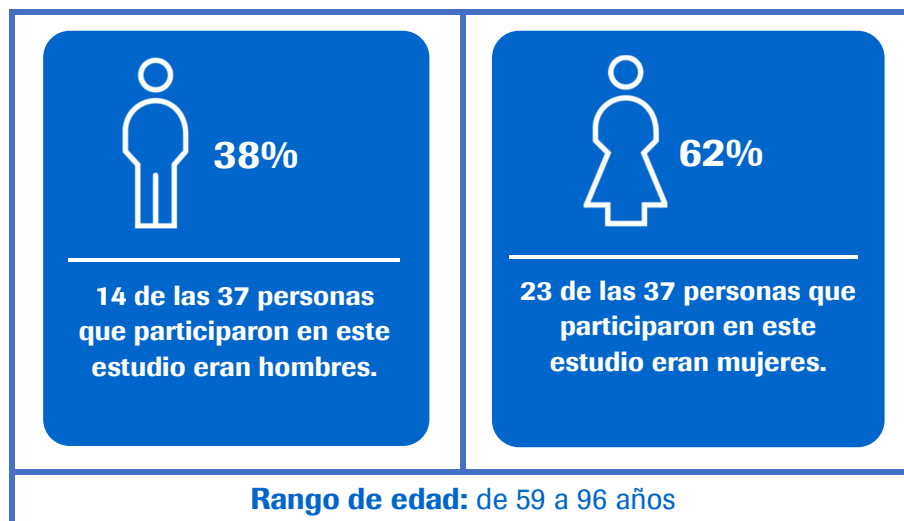
¿Cuándo y dónde se llevó a cabo el estudio?

El estudio comenzó en diciembre de 2020 y finalizó en enero de 2023. Este resumen se redactó después de que el estudio había finalizado.

El estudio se llevó a cabo en trece centros de estudio en un solo país: los EE. UU.

2. ¿Quiénes participaron en este estudio?

En este estudio participaron treinta y siete personas con AG secundaria a la DMAE.



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

- Tener al menos 50 años de edad.
- Aceptar usar métodos anticonceptivos en el caso de los hombres que podían dejar embarazadas a sus parejas y las mujeres con capacidad de concebir.
- Aceptar no donar esperma durante un período en el caso de los hombres.
- Tener enfermedad ocular confirmada por los médicos como AG secundaria a DMAE.

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

- Mujeres que estuvieran embarazadas, amamantando o que pretendían quedar embarazadas durante un período restringido.
- Personas que no cumplieran los requisitos oculares o que tenían antecedentes médicos que no estuvieran permitidos.
- Personas que no cumplieran los requisitos de salud general de acuerdo con los resultados de las pruebas médicas, su salud actual o los antecedentes médicos generales.

3. ¿Qué sucedió durante el estudio?

El estudio se dividió en 3 partes:

- Un período de selección que duraría un máximo de 28 días
- Un período de tratamiento de un solo día
- Un período de seguimiento de 12 semanas

Las personas se incorporaron a uno de cuatro grupos de dosis:

- Grupo 1 (dosis más baja probada en este estudio)
- Grupo 2
- Grupo 3
- Grupo 4 (dosis más alta probada en este estudio)

El tratamiento se administró en forma de inyección única en el ojo del estudio. El otro ojo fue el ojo que no era del estudio.

Las personas recibieron tratamiento primero en el grupo de dosis baja. Hubo un período de observación de 14 días para observar efectos secundarios antes de que el siguiente grupo de dosis más alta recibiera su tratamiento.

Las personas acudieron a una visita de seguimiento al centro a las 12 semanas después de recibir el tratamiento.

Antes, durante y después del tratamiento del estudio, el personal del estudio hizo preguntas y realizó varios procedimientos para analizar el ojo del estudio, el ojo que no era del estudio y la salud de las personas en general. El personal del estudio observó el ojo del estudio y el ojo que no era del estudio utilizando equipos de obtención de imágenes especializados. Se solicitó a las personas del estudio que proporcionaran muestras de sangre y muestras del ojo (muestras de líquido ocular) en diferentes momentos.

4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Treinta y siete personas recibieron el tratamiento del estudio. Treinta y seis (97%) personas completaron el estudio, incluida la visita de seguimiento a las 12 semanas.

Pregunta 1: ¿Cuáles fueron los efectos secundarios en el ojo y en el cuerpo de una dosis única de RO7303359?

Ninguna persona de este estudio tuvo efectos secundarios graves que afectaran a los ojos o a la salud general. Una persona experimentó un efecto secundario no grave en un ojo, que se consideró como causado por RO7303359.

Pregunta 2: ¿Cuál fue la dosis más alta de RO7303359 que las personas podían tolerar?

En este estudio se probaron cuatro dosis. Ninguna de las dosis provocó demasiados efectos secundarios. Se consideró que las cuatro dosis eran tolerables.

No se encontró una dosis intolerable, ya que la administración no se aumentó de forma continua más allá de las dosis tolerables, a una dosis que se volviera intolerable.

Pregunta 3: ¿Hubo alguna evidencia de que RO7303359 fuera útil para la AG secundaria a la DMAE?

Los investigadores no encontraron respuesta al tratamiento en el ojo del estudio en los diferentes grupos de dosis.

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 describen en este resumen porque el médico del estudio cree que los efectos secundarios estuvieron relacionados con los tratamientos del estudio.
- No todas las personas de este 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.

No hubo efectos secundarios graves asociados con el ojo del estudio, el ojo que era del estudio o el estado de salud general de ninguna persona en este estudio.

Efectos secundarios más frecuentes

Una persona (3%) del estudio tuvo un efecto secundario que no fue grave pero que se consideró relacionado con el tratamiento del estudio. Fue en el ojo del estudio de una persona del grupo que recibió la dosis más alta de RO7303359.

Ninguna persona se retiró del estudio debido a efectos secundarios relacionados con el tratamiento del estudio.

Una persona se retiró del estudio debido a una lesión de espalda que no estuvo relacionada con el tratamiento del estudio.

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 37 personas con AG secundaria a DMAE. Estos resultados ayudaron a los investigadores a saber más sobre RO7303359, un tratamiento experimental. Descubrieron que RO7303359 era tolerable en las dosis probadas en este estudio. También descubrieron que no hubo actividad en el ojo en respuesta al tratamiento, en las dosis probadas en el estudio.

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 se prevén más estudios que examinen RO7303359 en el momento actual.

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/study/NCT04615325>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/eye-disorder/amd/a-study-to-evaluate-the-safety--tolerability--pharmacok-30793.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 rellene 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 fase Ia, multicéntrico, abierto, de dosis única y aumento gradual de la dosis para evaluar la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética e inmunogenicidad de las inyecciones intravítreas de RO7303359 en pacientes con atrofia geográfica secundaria a la degeneración macular asociada con la edad.

- El número de protocolo para este estudio es GR42163.
- El identificador de ClinicalTrials.gov de este estudio es NCT04615325.