

## Resumen de los resultados del ensayo clínico

### Estudio de los efectos a largo plazo del tratamiento con fenebrutinib en pacientes con lupus

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.
- Participantes del estudio: son pacientes que participaron en este estudio.

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

El estudio comenzó en enero de 2018 y finalizó en noviembre 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.

Se necesitan muchas personas en muchos 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. ¿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

Las personas que participaron han ayudado a los investigadores a responder preguntas importantes sobre el lupus y el fenebrutinib.

## Información clave sobre este estudio

- Este estudio se realizó para averiguar si el fenebrutinib era seguro y eficaz a largo plazo para los pacientes con lupus.
- Los pacientes podían participar en este estudio si habían participado previamente en otro estudio. En el estudio anterior, los pacientes habían recibido fenebrutinib o placebo (un comprimido que tiene el mismo aspecto que el fenebrutinib, pero no contiene fármaco).
- Este estudio incluyó a 160 pacientes de 11 países.
- El principal hallazgo fue que el fenebrutinib fue lo suficientemente seguro como para que los pacientes de este estudio lo toleraran.
- Cuatro de cada 160 pacientes (3 %) que tomaron fenebrutinib presentaron eventos adversos graves en este estudio que no estaban relacionados con el medicamento del estudio.
- Este estudio se interrumpió de forma anticipada, aproximadamente 4 meses después de que se completara el estudio anterior. El patrocinador del estudio decidió que disponía de suficiente información sobre los efectos del fenebrutinib en los pacientes con lupus, por lo que no era necesario continuar este estudio.

## 1. Información general sobre este estudio

### ¿Por qué se realizó este estudio?

El lupus eritematoso sistémico (lupus) es una “**enfermedad autoinmune**”, en la que su propio sistema inmunitario daña el organismo.

Esta enfermedad tiene muchos síntomas que incluyen dolor articular, hinchazón, erupciones cutáneas, llagas en la boca y sensación de cansancio extremo. Algunos pacientes tienen una forma muy grave de la enfermedad que afecta al cerebro y al riñón.

Hay varios medicamentos disponibles para tratar el lupus. En ocasiones, estos medicamentos pueden perder su efectividad en los pacientes. Los investigadores están intentando encontrar nuevos medicamentos.

El fenebrutinib es un medicamento experimental que bloquea una proteína denominada “**tirosina cinasa de Bruton**” o “**BTK**” (Bruton’s tyrosine kinase) de forma abreviada. Esto afecta a las células inmunitarias que causan enfermedades autoinmunes, como el lupus.

Los investigadores llevaron a cabo este estudio para observar los efectos a largo plazo del fenebrutinib, tanto buenos como malos, en pacientes con lupus.

## ¿Cuál fue el medicamento del estudio?

---

El fenebrutinib, también conocido como **GDC-0853**, es un medicamento que se ha administrado a personas en otros estudios. Así es como funciona el medicamento:

- El fenebrutinib bloquea una proteína denominada “**BTK**”.
- La BTK está presente en diferentes tipos de células inmunitarias en el organismo.
- El bloqueo de la BTK impide que las células inmunitarias funcionen de forma incorrecta y causen enfermedades autoinmunitarias.
- Los investigadores ya han probado diferentes dosis de fenebrutinib en seres humanos.
- El fenebrutinib ha mostrado beneficios en pacientes con otras enfermedades autoinmunitarias.

## ¿Qué querían averiguar los investigadores?

---

Los pacientes de este ensayo habían participado previamente en otro estudio que comparó el fenebrutinib con el placebo.

- Los pacientes que habían participado en el estudio anterior se incorporaron a este estudio.
- En el estudio anterior, los pacientes recibieron fenebrutinib o placebo.
- En este estudio, todos los pacientes recibieron fenebrutinib.
- No todos los pacientes del estudio anterior se incorporaron a este estudio.

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

1. ¿El fenebrutinib es seguro por un período a largo plazo cuando se administra a pacientes con lupus?

**Otra pregunta que los investigadores querían responder fue:**

2. ¿Es eficaz el fenebrutinib en pacientes con lupus?

## ¿Qué tipo de estudio fue este?

---

### **Estudio de fase 2**

Este estudio de fase 2 se llevó a cabo para averiguar si el medicamento del estudio (fenebrutinib) era seguro y eficaz para los pacientes. Este medicamento ya se había estudiado en estudios de fase 1 para encontrar la dosis segura para uso humano. Todos los pacientes recibieron fenebrutinib en este estudio.

### **Estudio de extensión abierto**

Los investigadores y los pacientes sabían que todos los pacientes recibían el medicamento del estudio; esto lo hizo un estudio “abierto”.

Se trataba de un estudio de “extensión” porque los pacientes ya habían participado en un estudio anterior (que investigaba el fenebrutinib con otros tratamientos). Este estudio incluyó a pacientes que habían completado el estudio anterior.

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

---

El estudio comenzó en enero de 2018 y se detuvo antes de lo previsto originalmente porque el patrocinador decidió que había suficiente información del estudio anterior que hacía que sea innecesario continuar este estudio.

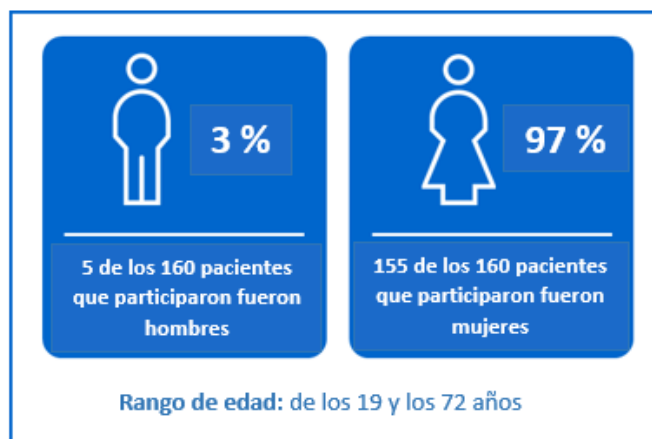
Este resumen presenta los resultados del estudio hasta que se detuvo en noviembre de 2019.

El estudio tuvo lugar en 49 centros del estudio en 11 países:

- Argentina (4 centros)
- Brasil (8 centros)
- Bulgaria (5 centros)
- Chile (4 centros)
- Colombia (5 centros)
- Gran Bretaña (1 centro)
- México (5 centros)
- Corea del Sur (1 centro)
- España (3 centros)
- Taiwán (2 centros)
- Estados Unidos (11 centros)

## 2. ¿Quién participó en este estudio?

Ciento sesenta pacientes con lupus participaron en este estudio.



### Las personas podían participar en el estudio si reunían los siguientes requisitos:

- Tenían entre 18 y 76 años de edad.
- Los hombres y las mujeres aceptaban utilizar métodos anticonceptivos para evitar embarazos durante este estudio.
- Tenían lupus que se consideraba de moderado a grave.
- Habían completado el estudio anterior.
- Mientras estaban en el estudio anterior, tomaron su medicamento habitual para el lupus en combinación con el tratamiento del estudio.
- En el estudio anterior, habían demostrado que sus cuerpos podían tolerar los tratamientos que recibían.

### Las personas no podían participar en el estudio en los siguientes casos:

- Tuvieron que interrumpir el tratamiento del estudio anterior debido a los efectos secundarios.
- Desarrollaron una nueva enfermedad (aparte del lupus) desde que se unieron al estudio anterior.
- Los resultados de sus análisis de sangre o exámenes médicos indicaron que no sería seguro participar en este estudio.
- Habían tomado un medicamento que no estaba permitido en el estudio anterior.

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

#### ¿Cuál fue el tratamiento?

- Todos los pacientes recibieron el mismo tratamiento, que eran 200 mg de fenebrutinib, dos veces al día.
- El tratamiento del estudio se administró a los pacientes **además de su medicamento regular para el lupus**.

#### ¿Qué ocurrió después de iniciar el tratamiento?

- Los pacientes recibieron su tratamiento durante 48 semanas.
- Hubo algunos días en los que los pacientes acudieron a la clínica para recibir su tratamiento. Durante la visita, los pacientes dieron muestras de sangre y se sometieron a otras pruebas para el estudio. Los pacientes respondieron preguntas para que los investigadores pudieran conocer los efectos de los tratamientos.
- Se realizó el seguimiento de los pacientes durante 8 semanas después de haber terminado las 48 semanas de tratamiento.

#### ¿Por qué se detuvo el estudio anticipadamente?

- El estudio se interrumpió de forma anticipada porque el patrocinador del estudio decidió que los investigadores habían recopilado suficiente información, de manera que no era necesario continuar este estudio.
- En el momento en que se interrumpió el estudio, 29 pacientes (18 %) habían completado el estudio y otros 31 pacientes (19 %) habían recibido el tratamiento completo, pero no habían completado el seguimiento de 8 semanas del paciente.
- El resto de los pacientes interrumpieron el estudio en el momento en que se encontraban y se les realizó un seguimiento durante 8 semanas.

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

#### Pregunta 1: ¿El fenebrutinib es seguro por un período a largo plazo cuando se administra a pacientes con lupus?

En este estudio, hubo 42 pacientes (26 %) con efectos secundarios que se cree que fueron causados por el medicamento del estudio: Aunque hubo 4 pacientes (3 %) con eventos adversos graves, ninguno de estos se consideró causado por el medicamento del estudio.

En general, la administración de 200 mg de fenebrutinib dos veces al día fue segura y tolerada por los pacientes con lupus en este estudio.

## **Pregunta 2: ¿Es eficaz el fenebrutinib en pacientes con lupus?**

---

En el estudio anterior, los investigadores descubrieron que el fenebrutinib no mostró suficiente mejoría para los pacientes con lupus, en las condiciones de ese estudio.

En este estudio, los investigadores no analizaron si el fenebrutinib fue eficaz para los pacientes con lupus, ya que la información del estudio anterior mostró que no lo era.

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 producen durante el estudio.

- Se describen en este resumen porque el médico del estudio considera que los efectos secundarios estuvieron relacionados con los tratamientos en el estudio.
- Ninguno de los pacientes de este estudio tuvo todos los efectos secundarios.
- Los efectos secundarios pueden ser de leves a muy graves y pueden ser diferentes entre una persona y 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.
- Los efectos secundarios pueden variar de leves a muy graves y podrían ser diferentes entre una persona y otra.
- Los efectos secundarios frecuentes y graves se enumeran en las secciones siguientes.

### **Efectos secundarios graves**

---

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

Durante este estudio, 4 de cada 160 pacientes (3 %) presentaron al menos un evento adverso grave. Sin embargo, ninguno de estos eventos adversos graves se consideró causado por el fenebrutinib.

No se produjeron muertes en este estudio.

### **Efectos secundarios más frecuentes**

---

Durante este estudio, alrededor de 42 de 160 pacientes (26 %) tuvieron un efecto secundario que no se consideró grave, pero que se consideró causado por el fenebrutinib.

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

<b>Efecto secundario causado por el medicamento del estudio</b>	<b>Cantidad de pacientes con el efecto secundario</b>
Resultados anormales de las pruebas hepáticas en sangre (aumento de la alanina aminotransferasa)	5 pacientes
Ganas de vomitar (náuseas)	5 pacientes
Resultados anormales de las pruebas hepáticas en sangre (aumento de la aspartato aminotransferasa)	4 pacientes
Infección del sistema urinario (infección de las vías urinarias)	3 pacientes
Reacciones alérgicas (hipersensibilidad)	2 pacientes
Diarrea	2 pacientes
Resultados anormales de las pruebas hepáticas en sangre (aumento de las enzimas hepáticas)	2 pacientes
Dolor en la zona del estómago (dolor abdominal)	2 pacientes
Presencia de bacterias sin infección en el sistema urinario (bacteriuria asintomática)	2 pacientes
Infección vaginal por hongos (candidiasis vulvovaginal)	2 pacientes

Durante el estudio, algunas personas cambiaron su tratamiento debido a efectos secundarios:

- 11 pacientes (7 %) se retiraron del estudio debido a los efectos secundarios relacionados con el fenebrutinib.
- 13 pacientes (8 %) cambiaron la dosis o dejaron temporalmente de tomar el medicamento debido a los efectos secundarios relacionados con el fenebrutinib.

### **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 160 pacientes. Estos resultados ayudaron a los investigadores a obtener más información sobre el lupus y el fenebrutinib.

Los investigadores observaron que la administración de 200 mg de fenebrutinib dos veces al día fue segura y tolerable para la mayoría de los pacientes de este estudio.

Los investigadores no analizaron si los pacientes presentaron una mejora en la respuesta al fenebrutinib, porque un estudio anterior mostró que no lo hizo.

Ningún estudio puede informarnos todo lo relativo a los riesgos y los beneficios de un medicamento. Se necesitan muchas personas en muchos 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?

El fenebrutinib se está estudiando para otras indicaciones y se pueden encontrar estudios en:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=fenebrutinib&cntry=&state=&city=&dist=>

Fenebrutinib también se conoce como “GDC-0853” y se pueden encontrar estudios en:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=GDC-0853&cntry=&state=&city=&dist=>

## 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/NCT03407482>

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2017-001764-37>

<https://forpatients.roche.com/en/trials/autoimmune-disorder/an-extension-study-of-gdc-0853-in-participants-with-moderate-to-.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 II, de extensión abierto de pacientes inscritos anteriormente en el estudio GA30044 para evaluar la seguridad y la eficacia a largo plazo de GDC-0853 en pacientes con lupus eritematoso sistémico activo de moderado a grave

- El número de protocolo de este estudio es **GA30066**.
- El identificador de ClinicalTrials.gov de este estudio es **NCT03407482**.
- El número EudraCT de este estudio es **2017-001764-37**.