[Encefalite autoimune LGI1](#)[Encefalite autoimune](#)[Encefalite autoimune NMDAR](#)

Estudo clínico para comparar satralizumabe com placebo em pessoas com encefalite autoimune

A Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics (PK), and Pharmacodynamics (PD) of Satralizumab in Participants With Anti-N-methyl-D-aspartic Acid Receptor (NMDAR) or Anti-leucine-rich Glioma-inactivated 1 (LGI1) Encephalitis

Trial Status
Recrutando

Trial Runs In
16 Countries

Trial Identifier
NCT05503264 2021-002395-39
2023-504226-18-00 WN43174

As informações abaixo foram obtidas diretamente de sites de registro público, como [ClinicalTrials.gov](#), [EuClinicalTrials.eu](#), [ISRCTN.com](#) etc., e não foram editadas.

Official Title:

A Phase III, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Multicenter Basket Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics of Satralizumab in Patients With Anti-N-methyl-D-aspartic Acid Receptor (NMDAR) or Anti-leucine-rich Glioma-inactivated 1 (LGI1) Encephalitis

Trial Summary:

O objetivo deste estudo é avaliar a eficácia, segurança, farmacocinética e farmacodinâmica de satralizumabe em participantes com encefalite anti-receptor de ácido N-metil-D-aspártico (NMDA) ou anti-proteína inativada de glioma rica em leucina 1 (LGI1).

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Phase 3
Phase

NCT05503264 2021-002395-39 2023-504226-18-00 WN43174
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
All

Age
#12 Years

Healthy Volunteers
No

1. Por que o estudo clínico Cielo é necessário?

A encefalite aguda é uma doença rara e debilitante do cérebro causada por inflamação.

ForPatients

by Roche

A encefalite autoimune (EAI) inclui distúrbios que estão associados a uma causa identificável, como autoanticorpos. Autoanticorpos são anticorpos (um tipo de proteína imunológica) que atacam erroneamente tecidos e proteínas saudáveis. EAI ANTI-NMDA e EAI ANTI-LGI1 são dois dos tipos mais comuns de EAI e são causados pela produção de autoanticorpos contra proteínas NMDA e LGI1, respectivamente.

Atualmente, não existem terapias aprovadas para EAI ANTI-NMDA ou EAI ANTI-LGI1, destacando uma necessidade significativa de mais pesquisas sobre o tratamento para esses tipos específicos de EAI.

O objetivo deste estudo clínico é avaliar a eficácia e segurança de satralizumabe em pacientes com EAI ANTI-NMDA ou EAI ANTI-LGI1.

2. Como o estudo clínico Cielo funciona?

Este estudo clínico está recrutando pessoas que tenham uma condição de saúde chamada EAI ANTI-NMDA ou EAI ANTI-LGI1. Pessoas podem participar se tiverem pelo menos 12 anos e tiverem sido diagnosticadas com EAI ANTI-NMDA, ou pelo menos 18 anos e tiverem sido diagnosticadas com EAI ANTI-LGI1.

O objetivo deste estudo clínico é comparar os efeitos bons ou ruins de satralizumabe versus placebo em pessoas com EAI ANTI-NMDA ou EAI ANTI-LGI1. Os participantes deste estudo clínico receberão satralizumabe ou placebo.

Os participantes receberão o tratamento do estudo clínico satralizumabe OU placebo por 52 semanas.

Os participantes serão atendidos pelo médico do estudo clínico a cada quatro semanas para receber o tratamento do estudo clínico. Essas visitas ao hospital incluirão verificações para ver como o participante está respondendo ao tratamento e quaisquer efeitos colaterais que possam estar tendo. Dependendo se os participantes optarem por participar de um período de extensão opcional do estudo (que durará por pelo menos dois anos), seu tempo total no estudo clínico pode durar até cinco anos (incluindo visitas de acompanhamento). Os participantes são livres para interromper o tratamento e deixar o estudo clínico a qualquer momento.

3. Quais são os principais desfechos do estudo clínico?

O principal desfecho do estudo clínico (principal resultado medido no estudo para ver se a medicação funcionou) é a proporção de participantes que apresentam melhora no grau de incapacidade ou dependência ao realizar atividades diárias, após 24 semanas de tratamento.

ForPatients

by Roche

Os demais desfechos do estudo clínico incluem o número e a gravidade dos eventos adversos (quaisquer problemas médicos inesperados que ocorram durante o tratamento) e o tempo para que os participantes alcancem a liberdade de crises (sem convulsões por pelo menos seis semanas).

4. Quem pode participar deste estudo clínico?

Poderão participar deste estudo pessoas diagnosticadas com EAI ANTI-NMDA ou EAI ANTI-LGI1, com sintomas que começaram há pouco mais de nove meses.

Não poderão participar deste estudo pessoas com história de câncer ou determinadas condições médicas, ou se tiverem sido tratadas com determinadas medicações. Pessoas grávidas ou amamentando não poderão participar neste estudo clínico.

5. Que tratamento os participantes deste estudo clínico receberão?

Todos os participantes deste estudo clínico serão incluídos em um dos dois grupos aleatoriamente (como jogar cara ou coroa) e receberão:

- Satralizumabe por injeção subcutânea (envolve a inserção de uma agulha sob a pele do abdômen ou perna) nas semanas 0, 2 e 4 e depois a cada quatro semanas até a semana 52
- OU placebo por injeção subcutânea nas Semanas 0, 2 e 4 e então a cada quatro semanas até a Semana 52.

Os participantes terão 50% de chance de serem colocados no grupo satralizumabe ou placebo.

Trata-se de um estudo clínico “controlado por placebo”, o que significa que um dos grupos receberá uma substância sem princípios ativos (também conhecida como “placebo”); parece a droga que está sendo testada. A comparação dos resultados dos diferentes grupos ajuda os pesquisadores a saber se alguma alteração observada é resultado da droga ou ocorre por acaso.

Trata-se também de um estudo duplo-cego, o que significa que nem o participante nem o médico do estudo clínico podem escolher ou saber o grupo em que o participante está até que o estudo termine. Essa abordagem ajuda a evitar vieses baseados em expectativas sobre o que vai acontecer. No entanto, o médico do participante pode descobrir em qual grupo o participante está se sua segurança estiver em risco. Se os participantes optarem por entrar no período de extensão do estudo clínico, eles podem optar por continuar com o tratamento duplo-cego original para o qual foram designados, receber satralizumabe ou interromper completamente o tratamento do estudo clínico, mas continuar a frequentar as avaliações do estudo clínico.

6. Há riscos ou benefícios em participar deste estudo clínico?

ForPatients

by Roche

A segurança ou eficácia do tratamento ou uso experimental pode não ser totalmente conhecida no momento do estudo. Na maioria dos estudos há alguns riscos para o participante, embora não possam ser maiores que os riscos relacionados ao tratamento médico de rotina nem da progressão natural da condição de saúde. Participantes em potencial serão informadas sobre eventuais riscos e benefícios de participar do estudo clínico, bem como sobre quaisquer outros procedimentos, exames ou avaliações que elas serão solicitadas a fazer. Tudo estará descrito no termo de consentimento livre e esclarecido (documento que fornece às pessoas as informações necessárias para decidir se voluntariar para o estudo clínico). Um participante em potencial também deve falar sobre isso com os membros da equipe de pesquisa e com seu profissional de saúde habitual. Qualquer pessoa interessada em participar de um estudo clínico deve saber o máximo possível sobre o estudo e sentir-se confortável em fazer perguntas à equipe de pesquisa sobre o estudo.

Riscos associados aos medicamentos do estudo clínico

Os participantes podem ter efeitos colaterais (efeito indesejado de um medicamento ou tratamento médico) dos medicamentos usados neste estudo clínico. Os efeitos colaterais podem ser de leves a graves, podendo até por a vida em risco, e isso pode variar de pessoa para pessoa.

Satralizumabe

Os potenciais participantes serão informados sobre os efeitos colaterais conhecidos de satralizumabe e, quando relevante, também potenciais efeitos colaterais com base em estudos humanos e laboratoriais ou conhecimento de medicamentos parecidos.

Satralizumabe e placebo serão administrados por injeção subcutânea. Os participantes serão informados sobre quaisquer efeitos colaterais conhecidos de injeções subcutâneas.

Benefícios potenciais associados ao estudo clínico

A saúde do participante pode ou não melhorar no estudo clínico, mas as informações que forem obtidas podem ajudar outras pessoas com um quadro clínico parecido no futuro.

Para mais informações sobre este estudo clínico, consulte a aba **For Expert** [Para Especialistas], na página específica do ForPatients ou siga este link para ClinicalTrials.gov: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05503264>

Inclusion Criteria:

- Reasonable exclusion of tumor or malignancy before baseline visit (randomization)

ForPatients

by Roche

- Onset of AIE symptoms # 9 months before randomization
- Meet the definition of "New Onset" or "Incomplete Responder" AIE
- For women of childbearing potential: agreement to remain abstinent (refrain from heterosexual intercourse) or use adequate contraception during the treatment period and for at least 3 months after the final dose of satralizumab or placebo
- For participants enrolled in the extended China enrollment phase at China's sites: participants who are current residents of mainland China, Hong Kong, or Taiwan, and of Chinese ancestry

NMDAR AIE Cohort:

- Age # 12 years
- Diagnosis of probable or definite NMDAR encephalitis

LGI1 AIE Cohort

- Age # 18 years
- Diagnosis of LGI1 encephalitis

Exclusion Criteria:

- Any untreated teratoma or thymoma at baseline visit (randomization)
- History of carcinoma or malignancy, unless deemed cured by adequate treatment with no evidence of recurrence for # 5 years before screening
- For participants with NMDAR AIE, history of negative anti-NMDAR antibody in cerebrospinal fluid (CSF) using a cell-based assay within 9 months of symptom onset
- Historically known positivity to an intracellular antigen with high cancer association or glutamate decarboxylase 65 (GAD-65)
- Historically known positivity to any cell surface neuronal antibodies other than NMDAR and LGI1, in the absence of NMDAR and LGI1 antibody positivity
- Confirmed paraneoplastic encephalitis
- Confirmed central or peripheral nervous system demyelinating disease
- Alternative causes of associated symptoms
- History of herpes simplex virus encephalitis in the previous 24 weeks
- Any previous/concurrent treatment with interleukin-6 (IL-6) inhibitory therapy (e.g., tocilizumab), alemtuzumab, total body irradiation, or bone marrow transplantation
- Any previous treatment with anti-cluster of differentiation 19 antibody (CD19 antibody), complement inhibitors, neonatal Fc receptor antagonists, anti-B-lymphocyte stimulator monoclonal antibody
- Any previous treatment with T-cell depleting therapies, cladribine, or mitoxantrone
- Treatment with oral cyclophosphamide within 1 year prior to baseline
- Treatment with any investigational drug (including bortezomib) within 24 weeks prior to screening
- Concurrent use of more than one immunosuppressive therapy (IST) as background therapy
- Contraindication to all of the following rescue treatments: rituximab, intravenous immunoglobulin (IVIG), high-dose corticosteroids, or intravenous (IV) cyclophosphamide
- Any surgical procedure, except laparoscopic surgery or minor surgeries within 4 weeks prior to baseline, excluding surgery for thymoma or teratoma removal
- Planned surgical procedure during the study
- Evidence of progressive multifocal leukoencephalopathy
- Evidence of serious uncontrolled concomitant diseases
- Congenital or acquired immunodeficiency, including human immunodeficiency virus (HIV) infection
- Active or presence of recurrent bacterial, viral, fungal, mycobacterial infection, or other infection
- Infection requiring hospitalization or treatment with IV anti-infective agents within 4 weeks prior to baseline visit

ForPatients

by Roche

- Positive hepatitis B (HBV) and hepatitis C (HCV) test at screening
- Evidence of latent or active tuberculosis (TB)
- History of drug or alcohol abuse within 1 year prior to baseline
- History of diverticulitis or concurrent severe gastrointestinal (GI) disorders that, in the investigator's opinion, may lead to increased risk of complications such as GI perforation
- Receipt of live or live-attenuated vaccine within 6 weeks prior to baseline visit
- History of blood donation (1 unit or more), plasma donation or platelet donation within 90 days prior to screening
- History of severe allergic reaction to a biologic agent
- History of suicide attempt within 3 years prior to screening except if this is clearly associated with and occurs during the acute phase of LGI-1 or NMDAR encephalitis
- Any serious medical condition or abnormality in clinical laboratory tests that, in the investigator's judgment, precludes safe participation in and completion of the study
- Pregnant or breastfeeding, or intending to become pregnant during the study or within 3 months after the final dose of study drug