

Síndrome hemolítica-urêmica atípica (aHUS)

Estudo clínico para ver como funciona o crovalimabe em adultos e adolescentes com síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa)

Estudo para avaliar a Eficácia, Segurança, Farmacocinética e farmacodinâmica e crovalimabe em participantes adultos e adolescentes com Síndrome Hemolítico-Urêmica Atípica (SHUa)

Trial Status
Recrutando

Trial Runs In
17 Countries

Trial Identifier
NCT04861259 2020-002475-35
BO42353

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, multicenter, single-arm study evaluating the efficacy, safety, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of Crovalimab in adult and adolescent patients with atypical hemolytic uremic syndrome (aHUS)

Trial Summary:

O objetivo deste estudo é avaliar a eficácia e segurança de crovalimabe em participantes adultos e adolescentes com SHUa.

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Phase 3
Phase

NCT04861259 2020-002475-35 BO42353
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
All

Age
#12 Years

Healthy Volunteers
No

1. COMO FUNCIONA O ESTUDO CLÍNICO BO42353?

Este estudo clínico está recrutando adultos e adolescentes que têm um tipo particular de doença chamada síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa).

O objetivo deste estudo clínico é testar os efeitos de crovalimabe em dois grupos diferentes de participantes, com base no fato de terem ou não recebido previamente um tipo específico de tratamento para SHUa.

2. COMO FAÇO PARA PARTICIPAR DESTE ESTUDO CLÍNICO?

Para poder participar deste estudo clínico, você deve ter sido diagnosticado com SHUa. Você deve ter pelo menos 12 anos de idade e pesar pelo menos 40 quilos.

Você não deve ter histórico de doença renal ou qualquer outra condição, além da SHUa, que faz com que seus rins não funcionem tão bem quanto deveriam. Você pode não ser capaz de participar do estudo se você foi diagnosticado com certas condições no passado, se você já recebeu certos tratamentos, ou se você está grávida ou amamentando.

Se você acha que este estudo clínico pode ser adequado para você e gostaria de participar, fale com seu médico. Se o seu médico acha que você pode participar deste estudo clínico, ele pode encaminhá-la para o médico do estudo clínico mais próximo. O médico do estudo clínico lhe dará todas as informações necessárias para decidir se você vai participar do estudo clínico. Você também pode encontrar os locais do estudo clínico nesta página.

Você terá mais exames para se certificar de que você será capaz de tomar os tratamentos dados neste estudo clínico. Alguns desses exames ou procedimentos podem fazer parte de seu tratamento médico de rotina. Eles podem ser feitos mesmo que você não participe do estudo clínico. Se você fez algum desses exames recentemente, talvez não seja necessário repeti-los.

Antes de iniciar o estudo clínico, você será informado sobre quaisquer riscos e benefícios de participar do estudo. Você também será informado sobre quais outros tratamentos estão disponíveis para que você possa decidir se ainda quer participar.

Se você é uma mulher e não está grávida no momento mas pode engravidar, você precisará ou não ter relações sexuais heterossexuais ou tomar medicação anticoncepcional.

3. QUE TRATAMENTO EU RECEBEREI SE EU PARTICIPAR DESTE ESTUDO CLÍNICO?

Todos que aderirem a este estudo clínico receberão crovalimabe. Seu primeiro tratamento será administrado por infusão na veia, seguido de injeções sob a pele, da seguinte forma:

Semana 1:

Dia 1: Crovalimabe por injeção na veia (infusão)

Dia 2: Crovalimabe por injeção sob a pele

Semanas 2-4:

Crovalimabe por injeção sob a pele uma vez por semana

Semana 5 em diante:

Crovalimabe por injeção sob a pele a cada 4 semanas.

As primeiras doses (até a semana 5) serão administradas na clínica ou no hospital. Durante essas visitas, os médicos mostrarão a você e/ou ao seu cuidador como administrar as injeções para que você possa continuar o tratamento fora da clínica. No entanto, você ainda tem a opção de ir à clínica para receber tratamento, se preferir.

4. COM QUE FREQUÊNCIA SEREI ATENDIDO EM VISITAS DE ACOMPANHAMENTO E POR QUANTO TEMPO?

Você receberá crovalimabe por pelo menos 25 semanas e você pode continuar por mais tempo se você e seu médico do estudo clínico assim determinarem.

Enquanto você estiver recebendo o tratamento do estudo, você será atendido regularmente pelo médico do estudo clínico (inicialmente uma vez por semana, depois a cada 2 semanas e depois disso a cada 4 semanas). Se você continuar tomando crovalimabe após as primeiras 24 semanas (6 meses), o médico do estudo clínico continuará atendendo você a cada 8 semanas até a Semana 49. Depois disso, ele/ela irá atendê-la a cada 16 semanas enquanto você permanecer no estudo. Essas visitas incluirão verificações para ver como você está respondendo ao tratamento e o que você pode estar tendo. Seu centro do estudo pode se organizar para que algumas visitas sejam feitas em sua casa, se você preferir, nas Semanas 13, 21 e 33.

Se crovalimabe funciona bem para você, destina-se a ser um tratamento para a vida toda, mas você é livre para parar este tratamento a qualquer momento. Se você recebeu tratamento com crovalimabe por pelo menos 25 semanas e sua doença melhorou, mas você ou seu médico do estudo clínico decidir suspender o tratamento, você pode ser capaz de reiniciar o tratamento em uma data posterior se sua doença piorar.

Se você decidir suspender o tratamento com crovalimabe e mudar para um tratamento diferente (eculizumabe ou ravulizumabe), seu médico do estudo clínico pedirá para vê-lo a cada 1-2 semanas por 10 semanas para verificar quaisquer efeitos colaterais que você possa ter durante esse tempo. Você também será solicitado a retornar para uma visita

clínica de segurança após 6 meses e receberá um telefonema de segurança 11 meses após sua última dose de crovalimabe para monitorar sua saúde.

5. O QUE ACONTECE SE EU NÃO PUDE PARTICIPAR DESTA ESTUDO CLÍNICO?

Se este estudo clínico não for adequado para você, você não poderá participar. Seu médico vai sugerir outros estudos clínicos que você possa participar ou outros tratamentos que você pode receber. Você não perderá acesso a nenhum dos seus tratamentos de rotina.

Para mais informações sobre este estudo clínico consulte a guia **Para Especialistas** na página específica do ForPatients ou siga este link para ClinicalTrials.gov: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04861259>

ID do estudo: NCT04861259

Inclusion Criteria:

- Body weight $\geq$ 40 kg at screening.
- Vaccination against *Neisseria meningitidis* serotypes A, C, W, and Y; vaccination against serotypes B, according to national vaccination recommendations.
- Vaccination against *Haemophilus influenzae* type B and *Streptococcus pneumoniae*, according to national vaccination recommendations.
- For patients continuing to receive other therapies concomitantly with crovalimab (e.g., immunosuppressants, corticosteroids, mTORi, or calcineurin inhibitors): stable dose for $\geq$ 28 days prior to screening and up to the first crovalimab administration.
- For female participants of childbearing potential: an agreement to remain abstinent or use contraception.
- Female patients of childbearing potential must have a negative serum pregnancy test result within 7 days prior to initiation of crovalimab.
- Participants with a prior kidney transplant are eligible if they have a known history of complement-mediated aHUS prior to the kidney transplant.
- Onset of initial TMA presentation within 28 days prior to the first dose of crovalimab (for Naive Cohort only).
- Documented treatment with either eculizumab or ravulizumab (for Switch Cohort only).
- Clinical evidence of response to a C5 inhibitor (for Switch Cohort only).
- Known C5 polymorphism (for C5 SNP Cohort only).
- Poorly controlled TMA following treatment with another C5 inhibitor (for C5 SNP Cohort only).

Exclusion Criteria:

- TMA associated with non-aHUS related renal disease.
- Positive direct Coombs test.
- Chronic dialysis and/or end stage renal disease.
- Identified drug exposure-related TMA.
- Presence or history of a condition that could trigger TMA, such as malignancy, bone marrow or organ transplant (other than kidney transplant) or autoimmune disease.
- History of a kidney disease, other than aHUS.

ForPatients

by Roche

- History of *Neisseria meningitidis* infection within 6 months of study enrollment.
- Known or suspected immune deficiency (e.g., history of frequent recurrent infections).
- Positive HIV test.
- Active systemic bacterial, viral, or fungal infection within 14 days before first crovalimab administration
- Presence of fever ($\geq 38.0^{\circ}\text{C}$) within 7 days before the first crovalimab administration
- Multi-system organ dysfunction or failure.
- Recent IVIg treatment.
- Pregnant or breastfeeding or intending to become pregnant.
- Participation in another interventional treatment study with an investigational agent or use of any experimental therapy within 28 days of screening or within five half lives of that investigational product, whichever is greater.
- Recent use of tranexamic acid.
- Current or previous treatment with a complement inhibitor (for Naive Cohort only).
- First initiation of plasma exchange/plasma infusions (PE/PI) should not be more than 28 days prior to first crovalimab administration (for Naive Cohort only).
- PE/PI should not be administered within 6 hours of first crovalimab administration (for Naive Cohort only).
- Receiving PE/PI within 8 weeks of the first crovalimab administration (Switch Cohort only)
- Positive for active Hepatitis B and C infection (HBV/HCV) (for Switch Cohort and C5 SNP Cohort participants who recently received C5 inhibitor treatment).
- Cryoglobulinemia at screening (for Switch Cohort and C5 SNP Cohort participants who recently received C5 inhibitor treatment).
- Documented condition leading to non-aHUS TMA: Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (TTP), Shiga Toxin producing *Escherichia Coli* (STEC)-TMA, Pneumococcal HUS, TMA secondary to cobalamin C defect and TMA related to Diacylglycerol kinase β (DGKE) nephropathy.