

# ForPatients

by Roche

Doença das células falciformes

## Um estudo de fase Ib, randomizado e controlado por placebo para avaliação de segurança, farmacocinética, farmacodinâmica e eficácia de crovalimabe para o manejo de episódios vaso-oclusivos agudos não-complicados em pacientes com anemia falciforme

A clinical trial to evaluate the safety and effectiveness of crovalimab for the treatment of pain crises, also called vaso-occlusive episodes (VOE), in people with sickle cell disease (SCD)

|  |                                      |  |
|--|--------------------------------------|--|
| <b>Trial Status</b><br>Ativo, sem recrutamento | <b>Trial Runs In</b><br>10 Countries | <b>Trial Identifier</b><br>NCT04912869 2020-004840-27<br>BO42452 |
|--|--------------------------------------|--|

---

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:*

Um Estudo Fase IB, Randomizado, Controlado com Placebo, que Avalia a Segurança, Farmacocinética, Farmacodinâmica e Eficácia de Crovalimabe para o Tratamento de Episódios Vaso-oclusivos Agudos não Complicados (VOE) em Pacientes com Doença Falciforme (SCD)

### *Trial Summary:*

O objetivo deste estudo é avaliar o crovalimabe para o tratamento de uma crise de dor falciforme (também conhecida como VOE) que requer hospitalização em participantes adultos e adolescentes com DF. O objetivo principal deste estudo é a segurança e avaliará adicionalmente a farmacocinética (como o crovalimabe é processado pelo seu corpo), farmacodinâmica (como o seu corpo reage ao crovalimabe) e a eficácia preliminar do crovalimabe versus placebo.

**Hoffmann-La Roche**  
Sponsor

**Fase 1**  
Phase

**NCT04912869 2020-004840-27 BO42452**  
Trial Identifiers

---

### *Eligibility Criteria:*

Gender

Age

Healthy Volunteers

## 1. COMO FUNCIONA O ESTUDO CLÍNICO BO42451?

Este estudo clínico está recrutando pessoas que têm doença falciforme (DF) e estão passando por um ataque de dor (crise) que requer internação hospitalar.

O objetivo deste estudo clínico é olhar para a segurança e eficácia do crovalimabe e entender a forma como o seu corpo processa (farmacocinética) e reage (farmacodinâmica) ao crovalimabe.

## 2. COMO FAÇO PARA PARTICIPAR DESTES ESTUDO CLÍNICO?

Você poderá participar deste estudo clínico se você:

- Tiver sido diagnosticado com um certo tipo de doença falciforme (anemia falciforme ou talassemia beta zero falciforme)
- Atualmente estão vivenciando um ataque de dor (crise) que requer internação e tratamento no hospital
- Tem entre 12 e 55 anos
- Estiver em dia com determinadas vacinas

Você não será elegível a participar deste estudo clínico se você:

- Ter tido mais de 10 crises de dor (crises) que necessitaram de consulta médica no último ano
- Estão experimentando dor que não é um ataque de dor DF (crise)
- Ter uma infecção em curso ou ter tido uma infecção recente

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. Eles lhe darão todas as informações que você precisa para decidir se você vai participar do estudo clínico. Você também pode encontrar os locais do estudo clínico nesta página.

O estudo clínico começará quando você tiver sido internado no hospital para tratamento de seu ataque de dor (crise). O seu médico do estudo clínico irá pedir-lhe para confirmar que quer participar no estudo clínico e informá-lo dos riscos e benefícios. Você também será informada sobre quais outros tratamentos estão disponíveis para que você possa decidir se ainda quer participar.

Talvez você faça outros exames para garantir que você poderá tomar os tratamentos administrados neste estudo clínico. Alguns desses exames ou procedimentos podem fazer parte de seu tratamento médico de rotina. Elas podem ser feitas, mesmo que você

não participe do estudo clínico. Se você fez algum desses exames recentemente, talvez não seja necessário repeti-los.

Por razões de segurança durante a participação no estudo clínico, as mulheres (que não estão atualmente grávidas, mas podem engravidar) precisarão concordar em usar um método contraceptivo confiável ou não ter relações heterossexuais.

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

Todos os participantes deste estudo clínico receberão APENAS uma dose de:

- Crovalimabe em perfusão única na veia, OU
- Placebo em perfusão única na veia

Você terá uma chance de 2 em 3 (67%) de estar no grupo crovalimabe e uma chance de 1 em 3 (33%) de estar no grupo placebo.

Durante o estudo clínico, você pode continuar a ter um padrão de tratamento para o seu ataque de dor (crise) conforme recomendado pelo seu médico do estudo clínico.

Este é um estudo clínico “controlado por placebo”, o que significa que um dos grupos receberá uma infusão de solução salina (água com sal) sem ingredientes ativos (também conhecida como “placebo”). Um placebo é utilizado como controle para garantir que quaisquer efeitos na saúde sejam provenientes do tratamento do estudo clínico, não de outros fatores.

Nem você nem seu médico do estudo clínico poderão escolher ou saber em qual grupo você está.

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

Enquanto estiver no hospital para tratamento do seu ataque de dor falciforme (crise), você será atendido pelo seu médico do estudo clínico.

Depois de receber tratamento com crovalimabe ou placebo, você terá exames regulares e check-ups enquanto estiver hospitalizado até que esteja bem o suficiente para ir para casa do hospital (recebeu alta).

Assim que receber alta hospitalar, você terá 5 check-ups por telefone e 2 visitas clínicas com seu médico do estudo clínico para verificar sua saúde e quaisquer efeitos colaterais que você possa estar tendo.

# ForPatients

*by Roche*

O estudo clínico durará um total de 322 dias (aproximadamente 10,5 meses) após o tratamento do estudo clínico (crovalimabe ou placebo).

## 5. O QUE ACONTECE SE EU NÃO PUDER PARTICIPAR DESTES 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 aba **For Expert** [Para Especialistas] na página específica do ForPatients ou siga este link para [ClinicalTrials.gov](https://ClinicalTrials.gov)

ID do estudo: NCT04912869

### ***Inclusion Criteria:***

- Peso corporal  $\geq$  40 kg.
- Diagnóstico confirmado de HbSS (SCD com genótipo de anemia falciforme) ou HbS#0 (SCD com genótipo de talassemia falciforme beta zero).
- Vacinação contra *Neisseria meningitidis*.
- Vacinações contra *H. influenzae* tipo B e *S. pneumoniae*.
- Diagnóstico de um VOE agudo não complicado, que necessita de hospitalização/admissão a uma unidade médica aguda e tratamento com analgésicos opioides parenterais.
- Funções hepática e renal adequadas.
- Hemoglobina  $\geq$  5 g/dL.
- Número de plaquetas  $\geq$  100.000/ $\mu$ L.
- Participantes que recebem terapias para doença falciforme deverão estar em uma dose estável por  $\geq$  28 dias.
- Para participantes férteis do sexo feminino, uma concordância em devem permanecer abstinentes ou utilizar contracepção por 6 meses após a dose do tratamento em estudo.

### ***Exclusion Criteria:***

- Mais de 10 VOs no período dos últimos 12 meses antes da apresentação, que necessitaram de uma visita à unidade médica.
- Dor relacionada ao VOE atual em andamento há  $>$ 48 horas.
- Dor aguda relacionada à necrose avascular, sequestro hepático ou esplênico ou priapismo.
- Dor atípica de um VOE não complicado agudo.
- Evidência ou suspeita de ACS.
- Evidência ou elevada suspeita de uma infecção sistêmica severa.
- Cirurgia de grande porte e/ou hospitalização por qualquer razão no período de 30 dias.
- História de infecção por *Neisseria meningitidis* no período de 6 meses anteriores.
- Infecção conhecida por HIV com um número documentado de CD4 de  $<$ 200 células/ $\mu$ L.
- Transfusão ou recebimento de hemoderivados no período de 3 meses ou participação atual em um protocolo de transfusão crônica.
- Imunizado com uma vacina viva atenuada no período de 30 dias.
- História de transplante de células-tronco hematopoiéticas.

# ForPatients

*by Roche*

- Deficiência hereditária conhecida ou suspeita de complemento.
- Gestantes ou lactantes, ou com intenção de engravidar durante o estudo ou no período de 6 meses após a administração da droga em estudo.
- Participação em outro estudo de tratamento intervencional com um agente em investigação ou uso de qualquer terapia experimental no período dos 28 dias anteriores ou cinco meias-vidas daquele produto em investigação, o que tiver sido maior.