

Síndrome hemolítica-urêmica atípica (aHUS)

Estudo clínico para avaliação da segurança e eficácia de crovalimabe em crianças e adolescentes com síndrome hemolítica urêmica atípica (SHUa)

A Study Evaluating the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of Crovalimab in Pediatric Participants With Atypical Hemolytic Uremic Syndrome (aHUS)

Trial Status Ativo, sem recrutamento	Trial Runs In 10 Countries	Trial Identifier NCT04958265 2020-002437-15 2023-505638-82-00 BO42354
--	--------------------------------------	--

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 III, Multicêntrico, de Braço Único para Avaliar a Eficácia, a Segurança, a Farmacocinética e a Farmacodinâmica de Crovalimabe em Pacientes Pediátricos que Apresentam Síndrome Hemolítico-Urêmica Atípica (SHUa)

Trial Summary:

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

Hoffmann-La Roche
Sponsor

Fase 3
Phase

NCT04958265 2020-002437-15 2023-505638-82-00 BO42354
Trial Identifiers

Eligibility Criteria:

Gender
Todos

Age
28 dias e # 17 anos

Healthy Volunteers
Não

1. COMO FUNCIONA O ESTUDO COMMUTE-P (BO42354)?

Este estudo clínico está recrutando pessoas que têm um tipo de doença chamada síndrome hemolítica urêmica atípica (SHUa). Para participar, você deve ser menor de 18 anos e ter sido diagnosticado com SHUa.

ForPatients

by Roche

O objetivo deste estudo clínico é testar a segurança e eficácia de crovalimabe e entender como seu corpo processa esse medicamento.

2. COMO FAÇO PARA PARTICIPAR DESTE ESTUDO CLÍNICO?

Para poder participar deste estudo clínico, você deve ser menor de 18 anos (os bebês devem ter pelo menos 28 dias de vida e pesar pelo menos 5 kg). Também é preciso estar em dia com determinadas vacinas para participar deste estudo clínico.

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 não pode ter feito nenhum transplante de órgão (exceto rim) ou ter recebido tratamento de diálise por mais de quatro semanas. Se você tem certas outras condições médicas ou recebeu certos outros tratamentos, você também pode não ser capaz de participar deste estudo clínico.

Se você e seu cuidador acham que este estudo clínico pode ser adequado para você e você 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. Ele lhe dará todas as informações que você precisa para tomar sua decisão sobre participar neste estudo clínico. Você também pode encontrar os locais do estudo clínico nesta página.

Você terá alguns exames adicionais 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 e seu cuidador serão informados 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.

Durante a participação no estudo clínico, as mulheres que podem engravidar precisarão não ter relações heterossexuais ou tomar medicamentos contraceptivos por motivos de segurança.

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

Todos que aderirem a este estudo clínico receberão crovalimabe. O tratamento com crovalimabe será dividido em duas partes: a série de dose de ataque e as doses de manutenção (por pelo menos 24 semanas), mas as doses e os tempos variam dependendo do peso individual do participante.

ForPatients

by Roche

Em participantes que pesem pelo menos 12 kg, crovalimabe será administrado por injeção na veia (infusão) no Dia 1 e por injeção sob a pele no Dia 2 durante a Semana 1 da série de doses de ataque. Durante as Semanas 2, 3 e 4, crovalimabe será administrado por injeção sob a pele uma vez por semana.

Depois disso, para as doses de manutenção (a partir da Semana 5), crovalimabe será administrado por injeção sob a pele a cada duas ou quatro semanas (dependendo do peso do participante) até o final do estudo clínico.

Em participantes que pesem menos de 12 kg, crovalimabe será administrado por injeção na veia (infusão) no Dia 1 e por injeção sob a pele no Dia 2 durante a Semana 1 da série de doses de ataque. As doses de manutenção e crovalimabe serão administradas a cada duas semanas como injeções sob a pele, a partir da Semana 3.

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

Você receberá crovalimabe por pelo menos 24 semanas e você pode continuar o tratamento por mais tempo, se você e seu médico determinarem que está funcionando bem para você. Você pode parar este tratamento livremente e a qualquer momento. Durante as primeiras 5 semanas de tratamento, você precisará ir a um hospital ou clínica, para que seu médico possa ensinar você e/ou seu cuidador como aplicar suas injeções. Depois disso, você e/ou seu cuidador terão a opção de administrar a si mesmo suas injeções, se preferir. Você ainda será visto regularmente por seu médico durante e após o tratamento. Durante o tratamento, você será atendido regularmente pelo seu médico (inicialmente uma vez por semana, depois a cada 2 semanas e depois disso a cada 4 semanas). Se você continuar tomando crovalimabe após o primeiro período de 24 semanas, seu médico continuará atendendo você a cada 4 meses. Essas visitas clínicas incluirão verificações para ver como você está respondendo ao tratamento e se você está tendo algum efeito colateral.

5. O QUE ACONTECE SE EU NÃO PUDER 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 For Patient ou siga este link para ClinicalTrials.gov:

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04958265>

ID do estudo: NCT04958265

ForPatients

by Roche

Para obter a versão mais recente destas informações, vá para www.forpatients.roche.com

Inclusion Criteria:

- Peso corporal \geq 5 kg na triagem.
- **Vacinação** contra *Neisseria meningitidis*.
- Para participantes que recebem outras terapias (por exemplo, imunossuppressores, **corticosteroides**, mTORi, ou inibidores de calcineurina: dose estável por \geq 28 dias.
- Para participantes mulheres férteis: concordância em permanecer abstinentes ou usar contracepção.
- Participantes com transplante renal prévio serão elegíveis se apresentarem uma história conhecida de SHUa mediada pelo complemento antes do transplante renal.
- Evidência de TMA (apenas para Coorte Sem Tratamento Prévio)
- Início de TMA \leq 28 dias antes da primeira administração de crovalimabe (apenas para triagem da Coorte Sem Tratamento Prévio).
- Tratamento documentado com um inibidor de C5 (apenas para Coorte de Troca).
- Evidência clínica de resposta a um inibidor de C5 (apenas para Coorte de Troca).
- TMA mal controlada após tratamento com outro inibidor de C5 (apenas para participantes SNP C5 na Coorte de Pré-tratados).
- Polimorfismo de C5 conhecido (apenas para participantes SNP C5 na Coorte de Pré-tratados).

Exclusion Criteria:

- TMA associada à doença renal não relacionada à SHUa.
- Teste de Coombs direto positivo.
- Diálise **crônica** e/ou doença renal em estágio terminal.
- TMA relacionada à exposição à droga identificada.
- Presença ou história de uma condição que possa desencadear TMA, como doença maligna, transplante de órgãos (exceto transplante renal) ou **doença autoimune**.
- História de uma doença renal, exceto SHUa.
- História de infecção por *Neisseria meningitidis* no período de 6 meses.
- Deficiência imune conhecida ou suspeita (por exemplo, história de infecções recorrentes frequentes).
- Teste de **HIV** positivo.
- Disfunção ou falência múltipla dos órgãos.
- Tratamento recente com IVIg.
- Gravidez ou aleitamento materno, ou intenção de engravidar.
- Participação em outro estudo de tratamento intervencional com um agente em investigação ou uso de qualquer terapia experimental no período de 28 dias da triagem ou no período de cinco meias-vidas desse produto em investigação, o que for maior.
- Uso recente de ácido tranexâmico
- Tratamento atual ou prévio com um inibidor do complemento (apenas para a Coorte Sem Tratamento Prévio)
- Positivo para infecções Ativas por **Hepatite B** e/ou C (HBV/HCV) (para participantes da Coorte de Troca e participantes da Coorte de Pré-tratados com SNP C5 que receberam recentemente tratamento com inibidor de C5).
- Crioglobulinemia na triagem (para participantes da Coorte de Troca e da Coorte de SNP C5 que receberam recentemente tratamento com inibidor de C5).
- Condição documentada que leva à TMA não SHUa: Púrpura Trombocitopênica Trombótica (TTP), *Escherichia coli* produtor de Toxina Shiga (STEC)-TMA, SHU pneumocócica, TMA secundária ao defeito da cobalamina C e TMA relacionada à nefropatia por Diacilglicerol quinase # (DGKE).