

ENSAYO CLÍNICO EN PACIENTES CON MASTOCITOSIS SISTÉMICA DE MAL PRONÓSTICO CON EL ANÁLOGO DE PURINAS CLADRIBINA (2-CDA) E INTERFERÓN ALFA-2A PEGILADO EN SUJETOS CON MUTACIÓN D816V DE KIT (U OTRAS MUTACIONES EN EL EXÓN 17 DEL KIT).

Estado
EC Finalizado

Tipo de Participantes
Población especialmente vulnerable , Pacientes

Rangos de Edad
Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)

Género
Ambos

Fases
Fase II

Participantes esperados
Sin determinar

Resultados
Sin resultados

Bajo nivel intervención
No

Enfermedad rara
Si

Cobertura geográfica
Unicéntrico nacional

Ámbitos del ensayo
tratamiento, seguridad, eficacia

Terapia avanzada
NO

Información

Identificador
2012-000797-35

Cod. Protocolo
EC11-287

Área terapéutica
No especificada [CCC]

Enfermedad investigada
Mastocitosis sistémica de mal pronóstico con la mutación D816V u otras mutaciones en el exón 17 de KIT.

Título Científico
ENSAYO CLÍNICO EN PACIENTES CON MASTOCITOSIS SISTÉMICA DE MAL PRONÓSTICO CON EL ANÁLOGO DE PURINAS CLADRIBINA (2-CDA) E INTERFERÓN ALFA-2A PEGILADO EN SUJETOS CON

MUTACIÓN D816V DE KIT (U OTRAS MUTACIONES EN EL EXÓN 17 DEL KIT)

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Analizar la eficacia del uso combinado de cladribina y peginterferón alfa-2a en pacientes con mastocitosis sistémica de mal pronóstico.

Variables de Evaluación Primaria

Evaluar el efecto del tratamiento sobre la infiltración mastocitaria en médula ósea.

Momentos temporales de evaluación primaria

3 y 6 meses.

Objetivo Secundario

Analizar la seguridad del uso combinado de cladribina y peginterferón alfa-2a en pacientes con mastocitosis sistémica de mal pronóstico.

Variables de Evaluación Secundaria

determinar el efecto del tratamiento sobre los niveles de triptasa sérica y otras alteraciones analíticas relacionadas con la mastocitosis.

Evaluar el efecto del tratamiento sobre los síntomas de liberación de mediadores mastocitarios: picor, flushing, síntomas gastrointestinales o anafilaxia.

Determinar la seguridad del tratamiento combinado con cladribina y peginterferon alfa-2a.

Evaluar el efecto del tratamiento sobre las lesiones cutáneas de la mastocitosis.

Evaluar el efecto del tratamiento sobre las organomegalías relacionadas con la mastocitosis.

Evaluar el efecto del tratamiento sobre las alteraciones óseas relacionadas con la mastocitosis.

Momentos temporales de evaluación secundaria

6 meses para cada objetivo.

Criterios de Inclusión

Edad igual o mayor a 18 años.
Diagnóstico de mastocitosis sistémica de mal pronóstico (mastocitosis sistémica agresiva o en progresión) con la mutación D816V u otras mutaciones en el exón 17 de KIT.
ECOG $\leq$ 3.
Firma del consentimiento informado.

Criterios de Exclusión

Alteración de la función hepática (bilirrubina total $\geq$ 2.0 mg/dl, GOT o GPT $>$ 3 veces el límite superior de la normalidad) no relacionada con la mastocitosis. Alteración de la función renal (creatinina $\geq$ 2.0 mg/dL) no relacionada con la mastocitosis. Citopenias grado III-IV no relacionadas con la mastocitosis. Cardiopatía severa (grado III/IV de la NYHA o fracción de eyección del ventrículo izquierdo $<$ 50%). Embarazo o lactancia. Mujeres en edad fértil que no usen métodos anticonceptivos fiables.

Calendario

(Última actualización: 20/11/2024)

Autorización 24/05/2013	Inicio de Ensayo No aportado	Inclusión Primer Paciente No aportado	Interrumpido No aportado	Reiniciado No aportado
Fin de reclutamiento No aportado	Fin prematuro (España) No aportado	Fin prematuro (Global) No aportado	Fin del ensayo en España 19/11/2014	Fin del ensayo global 19/11/2014

Promotor

Hospital Virgen de la Salud, Toledo (Spain). España

Ctra. Cobisa s/n 45071 Toledo

Contact Person

Hospital Virgen de la Salud - CLMast

0034 925 269336

0034 925 269355

ivana@sescam.jccm.es

Monetary support: Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad|

Tipo de promotor: No comercial

Centros

No iniciado (14/06/2018)

Instituto de Estudios de Mastocitosis
de Castilla La Mancha (CLMast)

Medicamentos

Litak

Solución inyectable

Código ATC: L01BB04 - CLADRIBINA

Principios Activos: N/A

Experimental

Pegasys

Solución inyectable

Código ATC: L03AB11 - PEGINTERFERON ALFA-2A

Principios Activos: N/A

Experimental

Sin resultados

Clinical Trial with Cladribine (2-CDA) and Pegylated Interferon Alfa-2a in patients with advanced systemic mastocytosis carrying D816V KIT mutation (or different mutations involving exon 17 of KIT).

State
Finished CT

Type of participants
Population especially vulnerable , Patient

Age Ranges
Older than 64 , Adults (18-64 years)

Gender
Both

Phases
Phase II

Expected Participants
Undetermined

Results
No results

Low level of intervention
No

Rare disease
Yes

Geographic coverage
National One-center

Areas of the study
treatment, safety, effectiveness

Advanced therapy
NO

Information

Identifier

2012-000797-35

Protocol Code

EC11-287

Therapeutic area

Not specified [CCC]

Investigated Disease

Advanced systemic mastocytosis carrying the D816V KIT mutation (or different exon 17 KIT mutations).

Scientific Title

Clinical Trial with Cladribine (2-CDA) and Pegylated Interferon Alfa-2a in patients with advanced systemic mastocytosis carrying D816V KIT mutation (or different mutations involving exon 17 of KIT).

Rationale

Not provided

Main Objective

To analyze the efficacy and safety of the combined use of cladribine plus peginterferon alfa-2a in patients with advanced systemic mastocytosis.

Primary Endpoints

To evaluate the effect of therapy on bone marrow mast cell infiltration.

Temporary moments of secondary assessment

3 and 6 months.

Secondary Objective

To analyze the safety of the combined use of cladribine plus peginterferon alfa-2a in patients with advanced systemic mastocytosis.

Secondary Endpoints

To determine the effect of therapy on serum tryptase levels and other altered peripheral blood parameters due to mastocytosis.

To evaluate the effect of therapy on mast cell-mediator release symptoms: pruritus, flushing, gastrointestinal symptoms or anaphylaxis). To determine the safety of combined therapy with cladribine plus pegylated interferon alpha-2a. To evaluate the effect of therapy on mastocytosis skin lesions. To evaluate the effect of therapy on mastocytosis-related organomegalies.

To evaluate the effect of therapy on mastocytosis-related bone alterations.

Temporary moments of secondary assessment

6 months for every endpoint.

Inclusion criteria

Age older than 18 years.

Diagnosis of advanced systemic mastocytosis (aggressive systemic mastocytosis or progressing systemic

mastocytosis) with D816V or other exon 17 KIT mutations.
ECOG ? 3.
Signed informed consent.

Exclusion criteria

Impaired liver function (total bilirubin ? 2.0 mg/dl, AST or ALT > 3 x upper limit of normal) not related to mastocytosis. Impaired renal function (creatinine ? 2.0 mg/dL) not related to mastocytosis. Grade III-IV cytopenias not related to mastocytosis. Severe cardiopathy (grade III/IV of NYHA, or left ventricular ejection fraction < 50%). Pregnancy or breastfeeding. Female patients who do not use contraceptive methods.

Calendar

(Last Update: 20/11/2024)

Authorization 24/05/2013	Start of Trial Not aported	First patient inclusion Not aported	Halted Not aported	Restarted Not aported
End of recruitment Not aported	Premature end (Spain) Not aported	Premature End (Global) Not aported	Trial end (Spain) 19/11/2014	Trial end (Global) 19/11/2014

Sponsor

Hospital Virgen de la Salud, Toledo (Spain). España

Ctra. Cobisa s/n 45071 Toledo

Contact Person

Hospital Virgen de la Salud - CLMast

0034 925 269336

0034 925 269355

ivana@sescam.jccm.es

Monetary support: Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad|

Sponsor type: No commercial

Sites

not initialized (14/06/2018)

Instituto de Estudios de Mastocitosis
de Castilla La Mancha (CLMast)

Medication

Litak

Solución inyectable

ATC code: L01BB04 - CLADRIBINA

Active Principles: N/A

Experimental

Pegasys

Solución inyectable

ATC code: L03AB11 - PEGINTERFERON ALFA-2A

Active Principles: N/A

Experimental

No results