

Seguridad y eficacia de nonacog beta pegol (N9-GP) en pacientes con hemofilia B no tratados previamente

Estado
EC Finalizado

Tipo de Participantes
Pacientes

Rangos de Edad
Menores de 18 , Niños (2-11 años) , Lactantes y preescolar (28 días - 23 meses) , Recién nacidos (0-27 días)

Género
Hombres

Fases
Fase III

Participantes esperados
60

Resultados
Tiene resultados

Bajo nivel intervención
No

Enfermedad rara
Si

Cobertura geográfica
Multicéntrico nacional, Multicéntrico internacional

Ámbitos del ensayo
seguridad, eficacia

Terapia avanzada
NO

Información

Identificador
2012-004867-38

Cod. Protocolo
NN7999-3895

Área terapéutica

Enfermedades [C] - Anormalidades congénitas, hereditarias y neonatología [C16]

Enfermedad investigada

Desorden del sangrado, deficiencia hereditaria en el factor IX de coagulación

Título Científico

Seguridad y eficacia de nonacog beta pegol (N9-GP) en pacientes con hemofilia B no tratados previamente Ensayo de fase 3a, no controlado, multicéntrico, de un solo grupo, abierto sin enmascaramiento, para investigar la seguridad

y la eficacia de nonacog beta pegol (N9-GP) en la profilaxis y el tratamiento de los episodios hemorrágicos en pacientes con hemofilia B (actividad de FIX $< 0 = 2\%$) no tratados previamente

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Evaluar la inmunogeneicidad de N9-GP (nonacog beta pegol)

Variables de Evaluación Primaria

Incidencia de anticuerpos inhibidores contra el FIX

Momentos temporales de evaluación primaria

Todos los objetivos/criterios de valoración se evaluarán cuando un mínimo de 20 PNTP PSTP hayan alcanzado al menos 50 días de exposición (DE), cuando un mínimo de 40 PNTP PSTP hayan alcanzado al menos 100 DE y al final del ensayo.

Objetivo Secundario

?Evaluar la seguridad de N9-GP (nonacog beta pegol)
?Evaluar la eficacia de N9-GP (nonacog beta pegol)
o en el tratamiento profiláctico a largo plazo
o en el tratamiento de los episodios hemorrágicos
o por medio del marcador indirecto: actividad del FIX
o por medio del seguimiento del número de dosis y del consumo de N9-GP

Variables de Evaluación Secundaria

-Número y frecuencia de acontecimientos adversos, acontecimientos adversos graves y acontecimientos médicos graves de interés especial.
-Número de episodios hemorrágicos intercurrentes durante la profilaxis (tasa anualizada de hemorragias).
-Efecto hemostático mediante la escala de respuesta de 4 puntos ("excelente", "buena", "leve" o "pobre")

Momentos temporales de evaluación secundaria

Todos los objetivos/criterios de valoración se evaluarán cuando un mínimo de 20 PNTP PSTP hayan alcanzado al menos 50 días de exposición (DE), cuando un mínimo de 40 PNTP PSTP hayan alcanzado al menos 100 DE y al

final del ensayo.

Criterios de Inclusión

-Obtención del consentimiento informado antes de realizar cualquier actividad relacionada con el ensayo. Se consideran actividades relacionadas con el ensayo todos los procedimientos que se lleven a cabo como parte del ensayo, incluidas las actividades para determinar la idoneidad para el mismo. -Pacientes varones < 6 años de edad en el momento de la firma del consentimiento informado. -Pacientes con un diagnóstico de hemofilia B (nivel de actividad del FIX $\geq$ 2 %) basado en la historia clínica o los resultados del laboratorio central. -Pacientes no tratados previamente o con una exposición a productos con FIX inferior o igual a 3 días de exposición (se aceptan 5 días de exposición previas a hemoderivados).

Criterios de Exclusión

?Antecedentes de uso de inhibidores del FIX (según la historia clínica).
 ?Hipersensibilidad conocida o presunta al producto del ensayo o productos relacionados.
 ?Participación previa en este ensayo. La participación se define como la administración de la primera dosis del producto del ensayo.
 ?Recepción de cualquier producto en investigación en los 30 días previos a la selección
 ?Trastornos de la coagulación congénitos o adquiridos distintos de la hemofilia B.
 ?Cualquier trastorno crónico o enfermedad importante que, en opinión del investigador, pueda poner en peligro la seguridad del paciente o el cumplimiento del protocolo.
 ?Incapacidad mental, falta de cooperación o barrera idiomática que impida una correcta comprensión y colaboración de los padres o el tutor legal del paciente.

Calendario

(Última actualización: 21/09/2023)

Autorización 16/07/2015	Inicio de Ensayo 30/09/2015	Inclusión Primer Paciente 13/10/2015	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 14/10/2022	Fin del ensayo global No aportado

Promotor

Novo Nordisk A/S Dinamarca

Novo Allé 2880 Bagsværd

Contact Person

Global Clinical Registry (GCR,1452)

+34 913 349 800

clinicaltrials@novonordisk.com

Monetary support: NA

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Hospital Universitario La Paz

Paseo de la Castellana, 261 28046 Madrid

ceic.hulp@salud.madrid.org

917277413

Centros

Cerrado (13/06/2023)	COMPLEJO UNIVERSITARIO LA PAZ MADRID MADRID Servicio de Hematología.Unidad de Coagulopatías
Cerrado (05/05/2023)	Hospital de Sant Joan de Déu Esplugues de Llobregat BARCELONA Unitat de la Recerca
Cerrado (04/05/2023)	HOSPITAL UNIVERSITARI I POLITÈCNIC LA FE VALENCIA VALENCIA Unidad de Hemostasia y Trombosis

Medicamentos

N9-GP 2000IU/vial Polvo y disolvente para solución inyectable	N9-GP 500IU/vial Polvo y disolvente para solución inyectable
Principios Activos: NONACOG BETA PEGOL Huérfano Experimental	Principios Activos: NONACOG BETA PEGOL Huérfano Experimental

Tiene resultados

Safety and Efficacy of nonacog beta pegol (N9-GP) in Previously Untreated Patients with Haemophilia B

State

Finished CT

Type of participants

Patient

Age Ranges

Less than 18 , Children (2-11 years) , Infants and preschool (28 days - 23 months) , Newborn infants (0-27 days)

Gender

Men

Phases

Phase III

Expected Participants

60

Results

Has results

Low level of intervention

No

Rare disease

Yes

Geographic coverage

National multicenter, International multicenter

Areas of the study

safety, effectiveness

Advanced therapy

NO

Information

Identifier

2012-004867-38

Protocol Code

NN7999-3895

Therapeutic area

Diseases [C] - Congenital, Hereditary, and Neonatal Diseases and Abnormalities [C16]

Investigated Disease

Bleeding disorder, inherited deficiency in clotting factor IX

Scientific Title

Safety and Efficacy of nonacog beta pegol (N9-GP) in Previously Untreated Patients with Haemophilia B
An open-label single-arm multicentre non-controlled phase 3a trial investigating safety and efficacy of nonacog beta pegol (N9-GP) in prophylaxis and treatment of bleeding episodes in previously untreated patients with haemophilia B

(FIX activity ?2%)

Rationale

Not provided

Main Objective

To evaluate immunogenicity of N9-GP (nonacog beta pegol)

Primary Endpoints

Incidence of inhibitory antibodies against FIX

Temporary moments of secondary assessment

All objectives/endpoints will be evaluated when minimum 20 PUPs have reached at least 50 exposure days (EDs), when minimum 40 PUPs have reached at least 100 EDs, and at end of trial.

Secondary Objective

- To evaluate safety of N9-GP (nonacog beta pegol)
 - To evaluate efficacy of N9-GP (nonacog beta pegol)
 - o in long-term prophylaxis treatment
 - o in the treatment of bleeding episodes
 - o through the surrogate marker: FIX activity
 - o through monitoring of number of doses and consumption of N9-GP
-

Secondary Endpoints

- Number and frequency of adverse events, serious adverse events, and Medical Events of Special interest
 - Number of breakthrough bleeding episodes during prophylaxis (annualised bleeding rate) -Haemostatic effect by 4-point haemostatic response scale ("excellent", "good", "moderate" and "poor")
-

Temporary moments of secondary assessment

All objectives/endpoints will be evaluated when minimum 20 PUPs have reached at least 50 exposure days (EDs), when minimum 40 PUPs have reached at least 100 EDs, and at end of trial.

Inclusion criteria

- Informed consent obtained before any trial-related activities. Trial-related activities are any procedures that are carried out as part of the trial, including activities to determine suitability for the trial - Male < 6 years of age at the time of signing informed consent - Patients with the diagnosis of haemophilia B (FIX activity level $\geq$ 2%) based on medical records or central laboratory results - Previously untreated or exposed to FIX containing products less than or equal to 3 exposure days (5 previous exposure days to blood components are acceptable)

Exclusion criteria

- Any history of FIX inhibitors (defined by medical records)
- Known or suspected hypersensitivity to trial product or related products
- Previous participation in this trial. Participation is defined as first dose administered of trial product
- Receipt of any investigational medicinal product within 30 days before screening
- Congenital or acquired coagulation disorder other than haemophilia B
- Any chronic disorder or severe disease which, in the opinion of the Investigator, might jeopardise patient's safety or compliance with the protocol
- Patient's parent(s)/LAR(s) mental incapacity, unwillingness to cooperate, or a language barrier precluding adequate understanding and cooperation

Calendar

(Last Update: 21/09/2023)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
16/07/2015	30/09/2015	13/10/2015	Not aported	Not aported

End of recruitment	Premature end (Spain)	Premature End (Global)	Trial end (Spain)	Trial end (Global)
Not aported	Not aported	Not aported	14/10/2022	Not aported

Sponsor

Novo Nordisk A/S Dinamarca

Novo Allé 2880 Bagsværd

Contact Person

Global Clinical Registry (GCR,1452)

+34 913 349 800

clinicaltrials@novonordisk.com

Monetary support: NA

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Hospital Universitario La Paz

Paseo de la Castellana, 261 28046 Madrid

ceic.hulp@salud.madrid.org

917277413

Sites

Closed (13/06/2023)	COMPLEJO UNIVERSITARIO LA PAZ MADRID MADRID Servicio de Hematología.Unidad de Coagulopatías	Hospital de Sant Joan de Déu Esplugues de Llobregat BARCELONA Unitat de la Recerca
Closed (04/05/2023)	HOSPITAL UNIVERSITARI I POLITÈCNIC LA FE VALENCIA VALENCIA Unidad de Hemostasia y Trombosis	

Medication

N9-GP 2000IU/vial Polvo y disolvente para solución inyectable Active Principles: NONACOG BETA PEGOL Orphan Experimental	N9-GP 500IU/vial Polvo y disolvente para solución inyectable Active Principles: NONACOG BETA PEGOL Orphan Experimental
---	--

Has results