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	**Tipo de Participantes**	**Rangos de Edad**
EC Finalizado	Población especialmente vulnerable , Pacientes	Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase II	Sin determinar
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Unicéntrico nacional	tratamiento, seguridad, eficacia	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 organomegalias 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 ? 3.
Firma del consentimiento informado.

Criterios de Exclusión

Alteración de la función hepática (bilirrubina total ? 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 ? 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	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
24/05/2013	No aportado	No aportado	No aportado	No aportado

Fin de reclutamiento	Fin prematuro (España)	Fin prematuro (Global)	Fin del ensayo en España	Fin del ensayo global
No aportado	No aportado	No aportado	19/11/2014	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 Interpheron Alfa-2a in patients with advanced systemic mastocytosis carrying D816V KIT mutation (or different mutations involving exon 17 of KIT).

State	**Type of participants**	**Age Ranges**
Finished CT	Population especially vulnerable , Patient	Older than 64 , Adults (18-64 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase II	Undetermined
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
National One-center	treatment, safety, effectiveness	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 Interpheron 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 peginterpheron 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 peginterpheron 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 interpheron 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 proggressing 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	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
24/05/2013	Not aported	Not aported	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	19/11/2014	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