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

Estado	Tipo de Participantes	Rangos de Edad
EC Finalizado	Pacientes	Menores de 18 , Niños (2-11 años) , Lactantes y preescolar (28 días - 23 meses) , Recién nacidos (0-27 días)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Hombres	Fase III	60
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Tiene resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Multicéntrico nacional, Multicéntrico internacional	seguridad, eficacia	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 couagulación

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 < o = 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
oen el tratamiento de los episodios hemorrágicos
opor medio del marcador indirecto: actividad del FIX
opor 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 ? 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	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
16/07/2015	30/09/2015	13/10/2015	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	14/10/2022	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

-

Principios Activos: NONACOG BETA PEGOL|

Huérfano **Experimental**

N9-GP 500IU/vial

Polvo y disolvente para solución inyectable

-

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	Type of participants	Age Ranges
Finished CT	Patient	Less than 18 , Children (2-11 years) , Infants and preschool (28 days - 23 months) , Newborn infants (0-27 days)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Men	Phase III	60
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
Has results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
National multicenter, International multicenter	safety, effectiveness	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 ? 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

Closed (05/05/2023)

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