Estudio para evaluar la seguridad a largo plazo de pacientes con leucemia linfoblástica a los que se les ha administrado UCART19 como terapia previa.

Estado	Tipo de Participantes	Rangos de Edad
EC Finalizado	Sujetos incapaces de otorgar consentimiento , Población especialmente vulnerable , Pacientes	Menores de 18 , Mayores de 64 , Adultos (18-64 años) , Adolescentes (12-17 años) , Niños (2-11 años) , Lactantes y preescolar (28 días - 23 meses)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase I	200
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	No
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Unicéntrico nacional, Multicéntrico internacional	seguridad, eficacia	NO

Información

Identificador
2016-000297-38

Cod. Protocolo
CL1-68587-003

Área terapéutica
Enfermedades [C] - Cáncer [C04]|

Enfermedad investigada
Tumores malignos linfoides

Título Científico
Estudio de seguimiento a largo plazo de pacientes que han sido previamente expuestos a UCART19 (células T alogénicas modificadas que expresan un receptor antigénico quimérico anti-CD19 basado en lentivirus)

Justificación

Las autoridades reglamentarias han recomendado a todos los pacientes tratados con UCART19 o bien mediante ensayo clínico o mediante uso compasivo, el participar en el presente estudio con el fin de hacerles un seguimiento a largo plazo de la seguridad relacionada con la terapia génica y para obtener más información acerca de las UCART19

Objetivo Principal

Evaluar la seguridad a largo plazo de los pacientes con neoplasias linfoides avanzadas a los que se les ha administrado previamente UCART19.

Variables de Evaluación Primaria

La seguridad de UCART19 se evaluará a lo largo del estudio, mediante los siguientes parámetros:
1- Número, duración, desenlace de todos los acontecimientos adversos (AEs) , 2- Número, duración, desenlace de acontecimientos adversos de especial interés al margen de su relación con UCART19 y cualquier AE relacionado con UCART19
3- Número de AEs que conlleven la muerte hasta el final del estudio
4- En pacientes pediátricos se evaluará el potencial impacto sobre la curva de crecimiento y la pubertad mediante la altura, el peso, escala de Tanner y estatus del ciclo menstrual .
5- Si se realiza un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas, se evaluará el éxito del injerto a través de la comunicación de datos hematológicos y del estado de quimerismo (si hay datos disponibles en la historia médica del paciente) ¿

Momentos temporales de evaluación primaria

1- En los 12 meses que siguen a la última infusión de las UCART19
2- A lo largo de todo el estudio
3- Hasta el final del estudio
4- En el mes 3 , mes 6, mes 12 tras la última infusión de las UCART19, después cada 6 meses hasta el año 3 y una vez al año hasta el año 15 5- Hasta 3 meses post transplante

---

Objetivo Secundario

-Evaluar la actividad antileucémica a largo plazo de UCART19 (supervivencia libre de progresión, supervivencia específica de enfermedad),
-Evaluar la proporción de pacientes que son sometidos a un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (alo-HSCT),
-Evaluar el tiempo hasta el trasplante
-Monitorizar la persistencia a largo plazo de UCART19 en sangre periférica,
-Monitorizar la persistencia a largo plazo de UCART19 en médula ósea (si, como parte del cuidado rutinario del paciente en el centro, se recoge un aspirado de médula ósea

---

Variables de Evaluación Secundaria

- Proporción de pacientes que recaen o progresan versus los pacientes que no progresan (supervivencia libre de progresión, supervivencia específica de la enfermedad),
Duración de la respuesta desde la fecha de CR o CRi hasta la fecha de progresión o muerte debida a cualquier causa, lo que ocurra primero.
-Supervivencia global
- proporción de pacientes que se someten a un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas y tiempo hasta el transplante.

Momentos temporales de evaluación secundaria

M3 tras la última infusión de UCART19, M6, M12 y después cada 6 meses hasta los tres años y una vez al año hasta el año 15

Criterios de Inclusión

-Consentimiento informado por escrito obtenido antes de la realización de cualquier procedimiento específico del estudio (paciente, progenitor o representante legal)
-Pacientes que han recibido UCART19 que han completado o abandonado prematuramente un estudio con promotor o cualquier estudio iniciado por un investigador que estudiaba UCART19, o pacientes a quienes se administró UCART19 en el marco de un esquema de acceso especial (uso compasivo)
-En el marco de este estudio, las pacientes femeninas en edad fértil y los pacientes masculinos con parejas en edad fértil deben continuar utilizando un método efectivo de contracepción así como sus parejas,

---

Criterios de Exclusión

No hay criterios de exclusión para este estudio

Calendario

(Última actualización: 12/04/2021)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
23/01/2019	03/04/2019	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	04/11/2020	No aportado

Promotor

Institut de Recherches Internationales Servier (I.R.I.S) Francia

50 rue Carnot 92284 Suresnes cedex

Contact Person

Institut de Recherches Internationales Servier (I.R.I.S) - Clinical Studies Department

+33 1 5572 4366

+33 1 5572 5412

clinicaltrials@servier.com

Monetary support: Laboratorios Servier S.L.|ADIR|

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Fundacio Sant Joan de Deu

Santa Rosa, 39-57, 3a planta 08950 Esplugues de Llobregat

frecerca.ceic@sjd.es

Centros

No iniciado (23/01/2019)

HOSPITAL DE SANT JOAN DE DÉU

Esplugues de Llobregat

BARCELONA

Hematología Pediátrica.Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas

Medicamentos

UCART19

Perfusión*

-

Principios Activos: CD19CAR/RQR8+_TCR¿¿-_T-cells|

Experimental

Sin resultados

A study to evaluate the long-term safety of patients with advanced lymphoid malignancies who have been previously administered with UCART19

State	Type of participants	Age Ranges
Finished CT	Incapable subjects of giving consent , Population especially vulnerable , Patient	Less than 18 , Older than 64 , Adults (18-64 years) , Teens (12-17 years) , Children (2-11 years) , Infants and preschool (28 days - 23 months)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase I	200
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	No
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
National One-center , International multicenter	safety, effectiveness	NO

Information

Identifier
2016-000297-38

Protocol Code
CL1-68587-003

Therapeutic area
Diseases [C] - Cancer [C04]|

Investigated Disease
Advanced lymphoid malignancies

Scientific Title
Long-term follow-up study of patients who have previously been exposed to UCART19 (allogeneic engineered T-cells expressing a lentiviral-based anti-CD19 chimeric antigen receptor)

Rationale

Regulatory authorities have recommended all patients having received UCART19 through compassionate use or during clinical trials to participate in the present study to follow-up long term safety related to gene therapy and get more information about UCART19.

Main Objective

To evaluate the long-term safety of patients with advanced lymphoid malignancies who have been previously administered with UCART19.

Primary Endpoints

The safety of UCART19 will be assessed throughout the study by evaluation of the following parameters:
1- Number, duration, outcome of all adverse events (AE)
2- Number, duration, outcome of AE of special interest regardless the relationship with UCART19 and any AE assessed as related to UCART19
3- Number of AEs leading to death
4- For paediatric patients: the potential impact on growth curve and puberty will be assessed by height, weight, Tanner staging and menstrual cycle status
5- If an allo-HSCT is performed, engraftment will be assessed through the reporting of haematological data and chimerism status (if data available from the patient¿s medical file)

Temporary moments of secondary assessment

1- within 12 months post last UCART19 infusion
2- throughout the study
3- up to the end of the study
4- Month 3 post last UCART19 infusion, Month 6 and Month 12, then every 6 months up to Year 3, and yearly until Year 15
5- Up to 3 months post allo-HSCT

Secondary Objective

- To assess the long-term anti leukemic activity (disease outcome, disease-free survival and overall survival),
- To assess the proportion of patients who underwent allogeneic HSCT (Hematopoietic Stem Cell Transplantation),
- To assess the time to transplant,
- To monitor the long-term persistence of UCART19 in blood,
- To monitor the long-term persistence of UCART19 in bone marrow (if a bone marrow aspirate is collected by the centre as part of the routine care of the patient¿s disease)

Secondary Endpoints

- Proportion of patients who relapse or progress among patients who had not relapsed (progression-free survival,

disease specific survival)
- Duration of response from the date of first CR or CRi until the date of progression or death due to any cause, whichever occurs first.
- Overall survival (OS)
- Proportion of patients who underwent allogeneic HSCT and time to transplant

Temporary moments of secondary assessment

M3 post last UCART19 infusion, M6 and M12, then every 6 months up to year 3, and yearly until year 15

Inclusion criteria

- Written informed consent obtained prior any study-specific procedure (patient or parent(s) or legal representative);
- Patient dosed with UCART19 who completed or discontinued early from a sponsored or from any investigator-initiated study that tested UCART19, or patients who were administered UCART19 under a special access scheme (compassionate use);
- Female patients of childbearing potential and male patients with partners of childbearing potential must continue to use an effective method of birth control as well as their partners.

Exclusion criteria

No exclusion criteria for this study

Calendar

(Last Update: 12/04/2021)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
23/01/2019	03/04/2019	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	04/11/2020	Not aported

Sponsor

Institut de Recherches Internationales Servier (I.R.I.S) Francia

50 rue Carnot 92284 Suresnes cedex

Contact Person

Institut de Recherches Internationales Servier (I.R.I.S) - Clinical Studies Department

+33 1 5572 4366

+33 1 5572 5412

clinicaltrials@servier.com

Monetary support: Laboratorios Servier S.L.|ADIR|

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Fundacio Sant Joan de Deu

Santa Rosa, 39-57, 3a planta 08950 Esplugues de Llobregat

frecerca.ceic@sjd.es

Sites

not initialized (23/01/2019)

HOSPITAL DE SANT JOAN DE DÉU

Esplugues de Llobregat

BARCELONA

Hematología Pediátrica.Servicio de Hematología y Oncología Pediátricas

Medication

UCART19

Perfusión*

-

Active Principles: CD19CAR/RQR8+_TCR¿¿-_T-cells|

Experimental

No results