ALXN1210 versus Eculizumab en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) actualmente tratados con eculizumab

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 III	192
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Tiene resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Multicéntrico nacional, Multicéntrico internacional	tratamiento, seguridad, eficacia, farmacocinética, farmacodinamica	NO

Información

Identificador
2016-002026-36

Cod. Protocolo
ALXN1210-PNH-302

Área terapéutica
Enfermedades [C] - Hematología [C15]|

Enfermedad investigada
Hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)

Título Científico
Estudio en fase III, aleatorizado, abierto y controlado con principio activo de ALXN1210 frente a eculizumab en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) actualmente tratados con eculizumab

Justificación

Este ensayo clínico investiga un fármaco en fase de investigación llamado ALXN1210, que está siendo desarrollado como una nueva opción terapéutica para el tratamiento de la hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN). La hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) es una enfermedad que destruye los glóbulos rojos. ALXN1210 trata la HPN bloqueando la actividad del complemento (El sistema de complemento es una parte del sistema que lucha contra las infecciones).
El objetivo de este estudio es comparar ALXN1210 con eculizumab (Soliris®), en pacientes adultos con HPN tratados actualmente con Eculizumab. El estudio consta de un periodo de selección de 4 semanas, un período de tratamiento de 26 semanas, y un periodo de extensión de hasta 2 años. ALXN1210 o eculizumab se administrarán en vena (infusión intravenosa). Unos 125 centros se abrirán en todo el mundo para tratar a 192 sujetos con HPN.

Objetivo Principal

Eficacia de ALXN1210

Variables de Evaluación Primaria

Hemólisis medida directamente por la variación porcentual en la lactato deshidrogenasa (LDH-PCHG)

Momentos temporales de evaluación primaria

Semana 26

Objetivo Secundario

Seguridad y tolerabilidad de ALXN1210
Medidas adicionales de eficacia

Variables de Evaluación Secundaria

- Variación en la calidad de vida (CdV) evaluada mediante la escala de Evaluación funcional para el tratamiento de enfermedades crónicas (FACIT)-Fatiga
- Porcentaje de pacientes que logren ausencia de transfusión (AT)
- Proporción de pacientes con hemoglobina estabilizada

Momentos temporales de evaluación secundaria

Semana 26

Criterios de Inclusión

1. Varones o mujeres de 18 años de edad o mayores
2. Deben estar en tratamiento con eculizumab para la HPN durante al menos 6 meses antes del día 1.
3. Lactato deshidrogenasa (LDH) ¿1,5 X límite superior de la normalidad (LSN) en la selección.
4. Diagnóstico documentado de HPN, confirmado mediante evaluación por citometría de flujo de alta sensibilidad
5. Vacuna documentada contra la meningitis meningocócica durante los
3 años antes de, o en el momento de, iniciar el fármaco del estudio.
6. Las mujeres en edad fértil y los pacientes varones con parejas femeninas en edad fértil deben utilizar métodos efectivos de anticoncepción desde la selección y durante 8 meses después de la última dosis de ALXN1210
7. Los pacientes deben estar dispuestos y ser capaces de dar su consentimiento informado por escrito y de cumplir con todas las visitas y procedimientos del estudio

---

Criterios de Exclusión

1. Antecedentes de trasplante de médula ósea. 2. Peso <40 kg en la selección. 3. Antecedentes de enfermedad cardíaca, pulmonar, renal, endocrina o hepática que, en opinión del investigador o del promotor, impida la participación 4. Afecciones médicas inestables (p. ej., isquemia miocárdica, hemorragia digestiva activa, insuficiencia cardíaca congestiva grave, necesidad prevista de cirugía mayor en el plazo de 6 meses antes de la aleatorización, anemia crónica concomitante no relacionada con la HPN) 5. Mujeres que estén embarazadas, en periodo de lactancia o que tienen un resultado positivo en la prueba de embarazo en la selección o el día 1. 6. Participación en otro estudio de intervención con tratamiento o uso de cualquier tratamiento experimental en los 30 días anteriores al inicio del fármaco del estudio el día 1 de este estudio o durante 5 semividas de dicho producto en fase de investigación, lo que sea mayor.

Calendario

(Última actualización: 17/03/2023)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
31/05/2017	26/06/2017	No aportado	No aportado	No aportado

Fin de reclutamiento	Fin prematuro (España)	Fin prematuro (Global)	Fin del ensayo en España	Fin del ensayo global
08/09/2017	No aportado	No aportado	12/03/2020	08/04/2022

Promotor

Alexion Pharmaceuticals Incorporated Estados Unidos

121 Seaport Boulevard MA 02210 Boston

Contact Person

European Clinical Trial Information

+33 78 7148158

+33 1 4710 0611

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: Alexion Pharmaceuticals Incorporated

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm HM Hospitales

Avda. Montepríncipe, 25 28660 Boadilla del Monte

secretariaceic@mail.hmhospitales.com

917089900

Centros

Medicamentos

ALXN1210

Concentrado para solución para perfusión

-

Principios Activos: Fc- and CDR-modified humanised monoclonal antibody against C5|

Huérfano **Experimental**

Soliris

Concentrado para solución para perfusión

Código ATC: L04AA25 - ECULIZUMAB

Principios Activos: ECULIZUMAB|

Huérfano **Comparador**

Tiene resultados

ALXN1210 Versus Eculizumab in Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) currently Treated With Eculizumab

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 III	192
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
Has results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
National multicenter, International multicenter	treatment, safety, effectiveness, pharmacokinetics, pharmacodynamics	NO

Information

Identifier
2016-002026-36

Protocol Code
ALXN1210-PNH-302

Therapeutic area
Diseases [C] - Hemic and Lymphatic Diseases [C15]|

Investigated Disease
Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)

Scientific Title
A Phase 3, Randomized, Open-Label, Active-Controlled Study of ALXN1210 Versus Eculizumab in Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) Currently Treated With Eculizumab

Rationale

This clinical trial looks at an investigational drug called ALXN1210, developed as a new therapeutic option to treat Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH). PNH is a condition that destroys red blood cells. ALXN1210 treats PNH by blocking complement activity (the complement system is a part of the system that fights against infections). The objective of this study is to compare ALXN1210 with eculizumab (Soliris®), in adult patients with PNH currently treated with Eculizumab. The study consists of a 4-week screening period, a 26-week treatment period, and an extension period of up to 2 years. ALXN1210 or eculizumab will be administered into your vein (intravenous infusion). About 125 centers will be opened around the world to treat 192 subjects with PNH.

Main Objective

Efficacy of ALXN1210

Primary Endpoints

Hemolysis as directly measured by lactate dehydrogenase percent change (LDH-PCHG)

Temporary moments of secondary assessment

Week 26

Secondary Objective

Safety and tolerability of ALXN1210
Additional efficacy measures

Secondary Endpoints

- Change from baseline in quality of life (QoL) as assessed by the Functional Assessment of Chronic Illness Therapy (FACIT)-Fatigue
- Percentage of patients who achieve transfusion avoidance (TA) - Proportion of patients with stabilized hemoglobin

Temporary moments of secondary assessment

Week 26

Inclusion criteria

1. Male or female ¿ 18 years of age 2. Treated with eculizumab for PNH for at least 6 months prior to Day 1

3. Lactate dehydrogenase (LDH) ¿ 1.5 x upper limit of normal (ULN) at Screening
4. PNH diagnosis confirmed by documented by high-sensitivity flow cytometry
5. Documented meningococcal vaccination not more than 3 years prior to, or at the time of, initiating study treatment.
6. Female patients of childbearing potential must use highly effective contraception starting at screening and continuing until at least 8 months after the last dose of ALXN1210
7. Willing and able to give written informed consent and comply with study visit schedule

Exclusion criteria

1. History of bone marrow transplantation 2. Body weight < 40 kilograms 3. History of or ongoing major cardiac, pulmonary, renal, endocrine, or hepatic disease that, in the opinion of the investigator or sponsor, would preclude participation. 4. Unstable medical conditions (eg, myocardial ischemia, active gastrointestinal bleed, severe congestive heart failure, anticipated need for major surgery within 6 months of randomization, coexisting chronic anemia unrelated to PNH) 5. Females who are pregnant, breastfeeding or who have a positive pregnancy test at screening or Day 1 6. Participation in another interventional clinical study or use of any experimental therapy within 30 days before initiation of study drug on Day 1 in this study or within 5 half-lives of that investigational product, whichever is greater.

Calendar

(Last Update: 17/03/2023)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
31/05/2017	26/06/2017	Not aported	Not aported	Not aported

End of recruitment	Premature end (Spain)	Premature End (Global)	Trial end (Spain)	Trial end (Global)
08/09/2017	Not aported	Not aported	12/03/2020	08/04/2022

Sponsor

Alexion Pharmaceuticals Incorporated Estados Unidos

121 Seaport Boulevard MA 02210 Boston

Contact Person

European Clinical Trial Information

+33 78 7148158

+33 1 4710 0611

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: Alexion Pharmaceuticals Incorporated

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm HM Hospitales

Avda. Montepríncipe, 25 28660 Boadilla del Monte

secretariaceic@mail.hmhospitales.com

917089900

Sites

Medication

ALXN1210

Concentrado para solución para perfusión

-

Active Principles: Fc- and CDR-modified humanised monoclonal antibody against C5|

Orphan **Experimental**

Soliris

Concentrado para solución para perfusión

ATC code: L04AA25 - ECULIZUMAB

Active Principles: ECULIZUMAB|

Orphan **Comparator**

Has results