REDEEM

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	29
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Tiene resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Multicéntrico nacional, Multicéntrico internacional	tratamiento, seguridad	NO

Información

Identificador
2021-006776-17

Cod. Protocolo
BCX9930-205

Área terapéutica
Enfermedades [C] - Patologías del sistema inmunitario [C20]|

Enfermedad investigada
HPN

Título Científico
Estudio abierto para evaluar la seguridad a largo plazo de BCX9930 en monoterapia en sujetos con hemoglobinuria paroxística nocturna que habían recibido previamente BCX9930 en un estudio promovido por BioCryst

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Proporcionar acceso continuo a BCX9930 para sujetos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que se han beneficiado del tratamiento con BCX9930 en otro estudio patrocinado por BioCryst y que, en opinión del investigador, se beneficiarían de la continuación del tratamiento con BCX9930, y que no tienen acceso a otras opciones de tratamiento eficaces
Controlar la seguridad de BCX9930 en sujetos que continúan recibiendo BCX9930 para el tratamiento de la HPN

Variables de Evaluación Primaria

•Incidencia en las personas de eventos adversos relacionados con el tratamiento (EART), anomalías de laboratorio, cambios en los signos vitales, resultados del electrocardiograma (ECG) y hallazgos del examen físico

Momentos temporales de evaluación primaria

Semana 96

Objetivo Secundario

•Analizar la efectividad continua de BCX9930 en el tratamiento de la HPN durante la administración a largo plazo
•Evaluar los efectos de la monoterapia a largo plazo con BCX9930 en la Evaluación Funcional de la Terapia de Enfermedades Crónicas (FACIT)- Escala de fatiga y Cuestionario de Calidad de Vida para Pacientes con Anemia Aplásica/HPN (QLQ-AA/HPN)
•Caracterizar las concentraciones plasmáticas de BCX9930 y su metabolito BCX13559 (M1a) durante todo el período de tratamiento
•Caracterizar los efectos de la monoterapia BCX9930 a largo plazo en sujetos con HPN en biomarcadores farmacodinámicos (PD) y del complemento

Variables de Evaluación Secundaria

• Cambio desde el inicio (CFB) en la hemoglobina (Hb) • Proporción de sujetos con Hb >= 12 g/dl • Proporción de sujetos con estabilización de Hb, definida como evitar de una disminución > 2 g/dL en ausencia de transfusión • Porcentaje de CFB en lactato deshidrogenasa (LDH) • Número de unidades de concentrado de glóbulos rojos (pRBC) transfundidos • Proporción de sujetos que están libres de transfusiones • CFB en la puntuación de la escala de fatiga FACIT hasta las 48 semanas de tratamiento en el estudio 205 • CFB en las puntuaciones QLQ-AA/PNH hasta las 48 semanas de tratamiento en el Estudio 205 • Concentraciones plasmáticas de BCX9930 y BCX13559 en estado estacionario en sujetos con HPN

Momentos temporales de evaluación secundaria

Semana 48

Criterios de Inclusión

1. Ser capaz de proporcionar un consentimiento informado por escrito.
2. Mujeres no embarazadas ni lactantes.
3. Sujetos con HPN que están participando en otro estudio clínico BCX9930, han completado al menos 12 semanas de tratamiento con BCX9930 y, en opinión del investigador, se han beneficiado del tratamiento con BCX9930 y se beneficiarían de la continuación del tratamiento con BCX9930, desean continuar el tratamiento y no tienen acceso a otras opciones de tratamiento eficaces.
4. Para pacientes femeninas:
a. Debe de encontrarse en edad no fértil, o
b. Si es una mujer en edad fértil, debe aceptar usar uno de los siguientes métodos anticonceptivos altamente efectivos durante todo el estudio y por una duración de 30 días después de la última dosis del fármaco del estudio. Los métodos anticonceptivos altamente efectivos se limitan a los siguientes:
o Anticoncepción hormonal implantable de progestágeno solo asociada con la inhibición de la ovulación:
Solo para Sudáfrica: la inyección anticonceptiva hormonal de progestágeno solo, con monitorización activa del cumplimiento, se permite como método anticonceptivo.
o Un dispositivo intrauterino
o Un sistema liberador de hormonas intrauterino
o Una oclusión tubaria bilateral
o Una pareja vasectomizada o estéril
La abstinencia como método anticonceptivo no será una opción independientemente del estilo de vida o la actividad sexual.
5. Los sujetos masculinos con una pareja femenina en edad fértil, a menos que estén vasectomizados, deben usar condones (con espermicida, donde esté disponible) durante todo el estudio y por una duración de 90 días después de la última dosis del fármaco del estudio. Los sujetos con una pareja femenina embarazada deben usar condones para evitar la posible exposición de la pareja y el feto en el útero a través del semen. La abstinencia como método anticonceptivo no será una opción independientemente del estilo de vida o la actividad sexual.
6. En opinión del investigador, se espera que el sujeto cumpla adecuadamente con todos los procedimientos y restricciones de estudio requeridos para el estudio.

Criterios de Exclusión

1.Cualquier afección médica o psiquiátrica clínicamente significativa, incluyendo dependencia al alcohol o las drogas, que en opinión del investigador o promotor pueda interferir con la capacidad del sujeto para participar en el ensayo, o aumentar el riesgo de participación para este sujeto.
2. Un acontecimiento adverso (AA) continuo, que incluye una anormalidad de laboratorio u otra toxicidad inaceptable que, a juicio del investigador, compromete la capacidad del sujeto para continuar los procedimientos específicos del estudio o se considera que no es lo mejor para el sujeto continuar o la evaluación de riesgo-beneficio ya no está a favor del tratamiento continuo del sujeto.
3. Uso diario de fármacos actualmente incluidos en la lista de medicamentos prohibidos en vigor en ese momento.
4. Hipersensibilidad conocida o sospechada a BCX9930 o cualquiera de sus excipientes de formulación (Nota: la erupción previa del fármaco no es excluyente).

Calendario

(Última actualización: 02/07/2025)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
20/02/2023	01/03/2023	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	25/06/2024	No aportado	25/06/2024	31/01/2025

Promotor

BioCryst Pharmaceuticals Inc Estados Unidos

4505 Emperor Blvd, Suite 200 NC27703 Durham

Contact Person

AMS Advanced Medical Services - Project Management

+44 20 8834 1144

operations@ams-europe.com

Monetary support: BioCryst Pharmaceuticals Inc|

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Hospital Clinic de Barcelona

Villarroel, 170 - Planta 0 - Puerta 6b 08036 Barcelona

ceic@clinic.cat

932275766

Centros

No iniciado (20/02/2023)

Complejo Asistencial Universitario De Salamanca

Salamanca

SALAMANCA

Hematologia

Cerrado (25/06/2024)

HOSPITAL ARNAU DE VILANOVA

València

VALENCIA

Hematologia

No iniciado (20/02/2023)

HOSPITAL CLINIC DE BARCELONA

Barcelona

BARCELONA

Hematologia

Cerrado (25/06/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARI GERMANS TRIAS I PUJOL DE BADALONA

Badalona

BARCELONA

Hematologia

No iniciado (20/02/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LUCUS AUGUSTI

Lugo

LUGO

Hematologia

Medicamentos

BCX9930
Comprimido

-

Principios Activos: BCX9930|

Experimental

Tiene resultados

REDEEM - access to BCX9930

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	29
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	NO

Information

Identifier
2021-006776-17

Protocol Code
BCX9930-205

Therapeutic area
Diseases [C] - Immune System Diseases [C20]|

Investigated Disease
PNH

Scientific Title
An Open-label Study to Evaluate the Long-term Safety of BCX9930 Monotherapy in Subjects with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Who Previously Received BCX9930 in a BioCryst sponsored Study

Rationale

Not provided

Main Objective

To provide continued assess to BCX9930 for subjects with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH) who have benefitted from treatment with BCX9930 in another BioCryst-sponsored study and who, in the opinion of the Investigator, would benefit from continued treatment with BCX9930, and who do not have access to other effective treatment options.
To monitor the safety of BCX9930 in subjects continuing to receive BCX9930 for the treatment of PNH

Primary Endpoints

•Subject incidence of graded treatment-emergent adverse events (TEAEs), laboratory abnormalities, changes to vital signs and physical examination findings

Temporary moments of secondary assessment

week 96

Secondary Objective

•To assess the continued effectiveness of BCX9930 in treatment of PNH during long-term administration
•To evaluate the effects of long-term monotherapy with BCX9930 on the Functional Assessment of Chronic Illness Therapy (FACIT)-Fatigue scale and Quality of Life Questionnaire for Patients with Aplastic Anemia/PNH (QLQ-AA/PNH)
•To characterize plasma concentrations of BCX9930 and its metabolite BCX13559 (M1a) throughout the treatment period
•To characterize the effects of long-term BCX9930 monotherapy in subjects with PNH on pharmacodynamic (PD) and complement biomarkers

Secondary Endpoints

• Change from baseline (CFB) in hemoglobin (Hb) • Proportion of subjects with Hb >= 12 g/dL • Proportion of subjects with Hb stabilization, defined as avoidance of a > 2 g/dL decrease in the absence of transfusion • Percent CFB in lactate dehydrogenase (LDH) • Number of units of packed red blood cells (pRBCs) transfused • Proportion of subjects who are transfusion-free • CFB in FACIT-Fatigue scale score through 48 weeks of treatment in Study 205 • CFB in QLQ-AA/PNH scores through 48 weeks of treatment in Study 205 • Plasma concentrations of BCX9930 and BCX13559 at steady state in subjects with PNH

Temporary moments of secondary assessment

No aplicable

Inclusion criteria

1.Able to provide written informed consent.
2.Non-pregnant, non-lactating female subjects.
3.Subjects with PNH who are participating in another BCX9930 clinical study, have completed at least 12 weeks treatment with BCX9930, and, in the opinion of the investigator, have benefited from treatment with BCX9930 and would benefit from continued treatment with BCX9930, wish to continue treatment, and do not have access to other effective treatment options.
4. For female subjects:
a. Must be of nonchildbearing potential, or
b. If a woman of childbearing potential, must agree to use one of the following methods of highly effective contraception throughout the study and for a duration of 30 days after the last dose of study drug. Highly effective contraceptive methods are restricted to the following:
o Implantable progestogen-only hormonal contraception associated with inhibition of ovulation:
For South Africa only: Progestogen-only hormonal contraception injection, with active monitoring of compliance, is allowed as a contraceptive method.
o An intrauterine device
o An intrauterine hormone-releasing system
o A bilateral tubal occlusion
o A vasectomized or sterile partner
Abstinence as a contraceptive method will not be an option regardless of lifestyle or sexual activity.
5. Male subjects with a female partner of childbearing potential, unless vasectomized, must use condoms (with spermicide, where available) throughout the study and for a duration of 90 days after the last dose of study drug. Subjects with a pregnant female partner must use condoms to avoid potential exposure of the partner and fetus in utero through semen. Abstinence as a contraceptive method will not be an option regardless of lifestyle or sexual activity.
6.In the opinion of the investigator, the subject is expected to adequately comply with all required study procedures and restrictions for the study

Exclusion criteria

1.Any clinically significant medical or psychiatric condition including alcohol or drug dependency that, in the opinion of the investigator or sponsor, would interfere with the subject’s ability to participate in the study or increase the risk of participation for that subject.
2.An ongoing adverse event (AE), including a laboratory abnormality, or other unacceptable toxicity that, in the judgment of the investigator, compromises the ability of the subject to continue study-specific procedures or it is considered not to be in the subject’s best interest to continue or benefit-risk assessment is no longer in favor of the subject’s continued treatment.
3.Daily use of medications listed in the currently applicable prohibited medications list.
4.Known or suspected hypersensitivity to BCX9930 or any of its formulation excipients (Note: prior drug rash is not exclusionary).

Calendar

(Last Update: 02/07/2025)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
20/02/2023	01/03/2023	Not aported	Not aported	Not aported

End of recruitment	Premature end (Spain)	Premature End (Global)	Trial end (Spain)	Trial end (Global)
Not aported	25/06/2024	Not aported	25/06/2024	31/01/2025

Sponsor

BioCryst Pharmaceuticals Inc Estados Unidos

4505 Emperor Blvd, Suite 200 NC27703 Durham

Contact Person

AMS Advanced Medical Services - Project Management

+44 20 8834 1144

operations@ams-europe.com

Monetary support: BioCryst Pharmaceuticals Inc|

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Hospital Clinic de Barcelona

Villarroel, 170 - Planta 0 - Puerta 6b 08036 Barcelona

ceic@clinic.cat

932275766

Sites

not initialized (20/02/2023)

Complejo Asistencial Universitario De Salamanca

Salamanca

SALAMANCA

Hematologia

Closed (25/06/2024)

HOSPITAL ARNAU DE VILANOVA

València

VALENCIA

Hematologia

not initialized (20/02/2023)

HOSPITAL CLINIC DE BARCELONA

Barcelona

BARCELONA

Hematologia

Closed (25/06/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARI GERMANS TRIAS I PUJOL DE BADALONA

Badalona

BARCELONA

Hematologia

not initialized (20/02/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LUCUS AUGUSTI

Lugo

LUGO

Hematologia

Medication

BCX9930
Comprimido

-

Active Principles: BCX9930|

Experimental

Has results