Estudio abierto de extensión de marstacimab en pacientes con hemofilia con o sin inhibidores

Estado	Tipo de Participantes	Rangos de Edad
Reclutando	Sujetos incapaces de otorgar consentimiento	Menores de 18 , Mayores de 64 , Adultos (18-64 años) , Adolescentes (12-17 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Hombres	Fase III	203
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Sin determinar	seguridad, eficacia	NO

Información

Identificador
2022-500470-33-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
B7841007

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

Enfermedad investigada
Hemofilia

Título Científico
ESTUDIO ABIERTO DE EXTENSIÓN PARA EVALUAR LA SEGURIDAD A LARGO PLAZO, LA TOLERABILIDAD Y LA EFICACIA DE MARSTACIMAB EN PROFILAXIS EN PACIENTES CON HEMOFILIA A GRAVE (ACTIVIDAD DEL FACTOR DE COAGULACIÓN <1 %) CON O SIN INHIBIDORES O EN PACIENTES CON HEMOFILIA B DE MODERADA A GRAVE (ACTIVIDAD DEL FACTOR DE COAGULACIÓN ¿2 %) CON O SIN INHIBIDORES

Justificación

This is a Phase 3 trial

Objetivo Principal

Determinar la seguridad y la tolerabilidad del tratamiento a largo plazo con marstacimab en pacientes con hemofilia A grave o hemofilia B de moderada a grave (actividad del factor VIII <1 % o actividad del factor IX ¿2 %, respectivamente) de 1 a <75 años de edad con o sin inhibidores.

Variables de Evaluación Primaria

Criterios de valoración de la seguridad
¿ AA y AAG.
Incidencia y gravedad de los acontecimientos trombóticos.
Incidencia y gravedad de las microangiopatías trombóticas.
Coagulopatía de consumo o coagulación intravascular diseminada.
Inmunogenicidad (incidencia de AAF y AcN persistentes y significativamente clínicos contra marstacimab).
Incidencia y gravedad de la reacción en el sitio de inyección.
Cambios en las constantes vitales.
Incidencia de anomalías en los valores de laboratorio clínicamente significativas.
Incidencia de hipersensibilidad grave y reacciones anafilácticas

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

Evaluar la eficacia a largo plazo del tratamiento con marstacimab en pacientes con hemofilia A grave o hemofilia B de moderada a grave (actividad del factor VIII <1 % o actividad del factor IX ¿2 %, respectivamente) de 1 a <75 años de edad con o sin inhibidores. Evaluar la eficacia a largo plazo del tratamiento con marstacimab en pacientes con hemofilia A grave o hemofilia B de moderada a grave (actividad del factor VIII <1 % o actividad del factor IX ¿2 %, respectivamente) de 11 a <75 años de edad con o sin inhibidores. Evaluar el efecto del marstacimab en la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS)

Variables de Evaluación Secundaria

The following efficacy endpoints will be reported for each year of participation (Year 1, Year 2, etc): Annualized rate of treated bleeding episodes. Incidence of joint bleeds. Incidence of spontaneous bleeds. Incidence of target joint bleeds Incidence of total bleeds (treated and untreated). Change in joints as measured by the HJHS. Number of target joints Haem-A-QoL (greater than or equal to 17 years of age)/Haemo-QoL (Adolescents 12 to <17 years of age). Health Utilities Measure (EQ-5D-5L). Total coagulation factor or bypass product consumption.

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

Los pacientes que continúen y que procedan del estudio B7841005 y el estudio B7841008 habrán cumplido los criterios con respecto a la edad del estudio anterior en el que hayan participado.
Pacientes que estén dispuestos a cumplir con todas las consultas programadas, el plan de tratamiento, los análisis y otros procedimientos del estudio.
Todos los pacientes que continúen desde el estudio B7841005 y el estudio B7841008 habrán cumplido los criterios de peso mínimo en su estudio correspondiente.
4.El investigador, o una persona designada por este, obtendrá el consentimiento informado por escrito o firmado electrónicamente por el paciente o, cuando proceda, el consentimiento informado del tutor/el representante legal designado de cada paciente del estudio (tal como se define en el Apéndice 1) y el asentimiento del paciente, antes de que se realice cualquier actividad concreta del estudio. Todos los tutores legales/los representantes legales designados deben tener pleno conocimiento y los pacientes deben ser informados en la medida de lo posible sobre el estudio en un lenguaje que puedan entender. El investigador conservará el original del documento de consentimiento o asentimiento firmado de cada paciente.
Pacientes que finalizaron de forma satisfactoria su participación en los estudios B7841005 o B7841008, que se definen como personas que no necesitaron una «interrupción anticipada» de los estudios B7841005 o B7841008

Criterios de Exclusión

Tratamiento anterior o actual para alguna arteriopatía coronaria, trombosis venosa o arterial (CTCAE1 de grado >3) o cardiopatía isquémica (excepto trombosis relacionada con cateterismo). Función renal anormal según una FGe <30 ml/min/1,73 m2 (consulte la sección 10.2.1 del Protocolo para obtener las fórmulas utilizadas en el cálculo de la FGe). Para determinar la aptitud, se pueden usar cálculos anteriores de FGe hasta 90 días antes de la consulta del día 1 de TPY1. Intervención quirúrgica programada conocida durante el período del estudio previsto. Los posibles pacientes que tengan programada una intervención quirúrgica durante el período de estudio podrán ser aptos para participar según el caso, solo después de la consulta entre el investigador y el monitor médico de Pfizer. Otras enfermedades o trastornos psiquiátricos, incluidas las ideas y conductas de suicidio recientes (durante el último año) o activas, o anomalías de laboratorio que puedan aumentar el riesgo de participar en el estudio o, según la opinión del investigador, causar que el paciente resulte inadecuado para el estudio. Funcionamiento hepático inestable según lo determinado por la evaluación clínica del investigador y el examen de los resultados de laboratorio más recientes del paciente, lo que haría que el paciente resultase inadecuado para el estudio. En el caso de los pacientes que se haya demostrado que están infectados por el VIH, el empeoramiento del estado de su enfermedad de acuerdo con la evaluación clínica del investigador y el examen de los resultados de laboratorio más recientes del paciente, para incluir el recuento disponible de CD4 más reciente a nivel local (si está disponible), lo que haría que el paciente resultase inadecuado para el estudio. Tratamiento habitual y simultáneo con medicamentos inmunomoduladores (p. ej., inmunoglobina intravenosa [IGIV] y corticoesteroides sistémicos habituales, rituximab). Uso continuado o previsto de profilaxis o inducción de tolerancia inmunológica con sustitución de los factores VIII o IX durante el estudio. Participación en otros estudios con fármacos en fase de investigación o vacunas experimentales en los 30 días (o según lo determinado por los requisitos locales) o 5 semividas previos a la inscripción en el estudio o durante la participación en este, a excepción de la participación los estudios B7841005 y B7841008. Personal del centro de investigación o empleados de Pfizer directamente involucrados en la realización del estudio, personal del centro supervisado por el investigador y sus respectivos familiares

Calendario

(Última actualización: 10/08/2026)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
07/09/2022	14/11/2022	16/11/2022	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	No aportado	No aportado

Promotor

Pfizer Inc. United States

66 Hudson Boulevard East

Contact Person

Clinical Medical Lead

+18007181021

ClinicalTrials.gov_Inquiries@pfizer.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Regional de la Comunidad de Madrid

C/ Aduana 29 3ª planta 28013 Madrid

comite.regional@salud.madrid.org

913702824

Centros

Activo (11/01/2023)

COMPLEXO HOSPITALARIO UNIVERSITARIO A CORUÑA

A Coruna

CORUÑA

Unidad Hemostasia y Trombosis

Activo (14/11/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D´HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Unidad Hemostasia y Trombosis

Activo (10/01/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LA PAZ

Madrid

MADRID

Unidad de Coagulopatías Congénitas y Adquiridas

Cerrado (28/03/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARIO MIGUEL SERVET

Zaragoza

ZARAGOZA

Hematología y Hemoterapia

Medicamentos

PRD9909451
SOLUTION FOR INJECTION IN PRE-FILLED PEN
SUBCUTANEOUS

-

Principios Activos: N/A

Huérfano Experimental

Marstacimab
SOLUTION FOR INJECTION IN PRE-FILLED SYRINGE
SUBCUTANEOUS

-

Principios Activos: N/A

Huérfano Experimental

Sin resultados

Open-Label Extension Study of Marstacimab in Hemophilia Participants With or Without Inhibitors

State	Type of participants	Age Ranges
Recruiting	Incapable subjects of giving consent	Less than 18 , Older than 64 , Adults (18-64 years) , Teens (12-17 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Men	Phase III	203
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
Undetermined	safety, effectiveness	NO

Information

Identifier
2022-500470-33-00 (CTIS)

Protocol Code
B7841007

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

Investigated Disease
Haemophilia

Scientific Title
B7841007 - An Open-Label Extension Study to Evaluate the Long-Term Safety, Tolerability, and Efficacy of Marstacimab Prophylaxis in Severe (Coagulation Factor Activity <1%) Hemophilia A Participants With or Without Inhibitors or Moderately Severe to Severe Hemophilia B Participants (Coagulation Factor Activity 2%) With or Without Inhibitors

Rationale

This is a Phase 3 trial

Main Objective

To determine the safety and tolerability of long-term treatment with marstacimab in severe hemophilia A or moderately severe to severe hemophilia B (FVIII activity <1% or FIX activity 2%, respectively) participants 1 to <75 years of age with or without inhibitors.

Primary Endpoints

Safety Endpoints AEs and SAEs
Incidence and severity of thrombotic events.
Incidence and severity of thrombotic microangiopathy.
Disseminated intravascular coagulation/consumption coagulopathy.
Immunogenicity (incidence of ADA and clinically significantly persistent NAb against marstacimab).
Incidence and severity of injection site reaction.
Changes in vital signs.
Incidence of clinically significant laboratory value abnormalities.
Incidence of severe hypersensitivity and anaphylactic reactions.

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

To evaluate long-term efficacy of treatment with marstacimab in severe haemophilia A or moderately severe to severe hemophilia B (FVIII activity <1% or FIX activity 2%, respectively) participants 1 to <75 years of age with or without inhibitors. To evaluate the effect of marstacimab on HRQoL

Secondary Endpoints

The following efficacy endpoints will be reported for each year of participation (Year 1, Year 2, etc): Annualized rate of treated bleeding episodes. Incidence of joint bleeds. Incidence of spontaneous bleeds. Incidence of target joint bleeds Incidence of total bleeds (treated and untreated). Change in joints as measured by the HJHS for participants 4 years of age. Number of target joints Haem-A-QoL (17 years of age)/Haemo-QoL (age-dependent versions 12 to <17 years of age and 8 to <12 years of age). Health Utilities Measure (EQ-5D-5L) for participants 12 years of age. Total coagulation factor or bypass product consumption. Health Utilities Measure (EQ-5D-Y) Self Assessment for participants 7 to 11 years of age Health Utilities Measure (EQ-5D-Y) Proxy Assessment for participants 4 to 6 years of age

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

Participants continuing from Study B7841005 and from Study B7841008 have met age criteria in their respective studies.
Participants who are willing and able to comply with all scheduled visits, treatment plan, laboratory tests, and other study procedures
All participants continuing from Study B7841005 and from Study B7841008 will have met minimum weight criteria in their respective study.
The investigator, or a person designated by the investigator, will obtain written/electronically signed informed consent and assent from each study participant or participants legal guardian//legally designated representative and the participants assent, when applicable, before any study-specific activity is performed. All legal guardians/legally designated representative should be fully informed, and participants should be informed to the fullest extent possible, about the study in language and terms they are able to understand. The investigator will retain the original copy of each participant's signed consent/assent document.
Participants who successfully completed participation in Studies B7841005 or B7841008, defined as did not require Early Termination from Studies or B7841008, respectively.

Exclusion criteria

Previous or current treatment for or history of coronary artery disease, venous or arterial thrombosis (CTCAE Grade >3), or ischemic disease (except catheter associated thrombosis). Abnormal renal function as defined by eGFR <30 mL/min/1.73 m2 (see Section 10.2.1 of the protocol for formulas used in eGFR calculation). Prior determinations of eGFR up to 90 days prior to TPY1 Day 1 visit may be used to determine eligibility Known planned surgical procedure during the planned study period. Potential participants who have a surgical procedure planned during the study period may be eligible for participation on a case-by-case basis, only after consultation between the investigator and the Pfizer medical monitor Other medical or psychiatric condition including recent (within the past year) or active suicidal ideation/behavior or laboratory abnormality that may increase the risk of study participation or, in the investigators judgement, make the participant inappropriate for the study. Unstable hepatic function as determined by the investigator clinical assessment and review of the participants most recent laboratory results, which would make the participant inappropriate for the study. For participants known to be HIV+, worsening disease status as determined by the investigator clinical assessment and review of the participants most recent laboratory results, to include recent locally available CD4 count (if available), which would make the participant inappropriate for the study. Regular, concomitant therapy with immunomodulatory drugs (eg, IVIG, and routine systemic corticosteroids, rituximab). Ongoing or planned use of immune tolerance induction or prophylaxis with FVIII or FIX replacement during the study. Participation in other studies involving investigational drug(s) or investigational vaccine(s) within 30 days (or as determined by local requirements) or 5 half-lives prior to study entry or during study participation, with the exception of participation in Studies B7841005 and B7841008. Investigator site staff or Pfizer employees directly involved in the conduct of the study, site staff otherwise supervised by the investigator, and their respective family members.

Calendar

(Last Update: 10/08/2026)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
07/09/2022	14/11/2022	16/11/2022	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	Not aported	Not aported

Sponsor

Pfizer Inc. United States

66 Hudson Boulevard East

Contact Person

Clinical Medical Lead

+18007181021

ClinicalTrials.gov_Inquiries@pfizer.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Regional de la Comunidad de Madrid

C/ Aduana 29 3ª planta 28013 Madrid

comite.regional@salud.madrid.org

913702824

Sites

Active (11/01/2023)

COMPLEXO HOSPITALARIO UNIVERSITARIO A CORUÑA

A Coruna

CORUÑA

Unidad Hemostasia y Trombosis

Active (14/11/2022)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D´HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Unidad Hemostasia y Trombosis

Active (10/01/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO LA PAZ

Madrid

MADRID

Unidad de Coagulopatías Congénitas y Adquiridas

Closed (28/03/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARIO MIGUEL SERVET

Zaragoza

ZARAGOZA

Hematología y Hemoterapia

Medication

PRD9909451

SOLUTION FOR INJECTION IN PRE-FILLED PEN

SUBCUTANEOUS

-

Active Principles: N/A

Orphan **Experimental**

Marstacimab

SOLUTION FOR INJECTION IN PRE-FILLED SYRINGE

SUBCUTANEOUS

-

Active Principles: N/A

Orphan **Experimental**

No results