Ensayo multicéntrico, abierto y de un único grupo en el que se evalúan la eficacia y la seguridad de iptacopán por vía oral dos veces al día en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna que presenten Hb ¿10 g/dl como respuesta al tratamiento con anticuerpo anti-C5 y que cambien a iptacopán

Estado	**Tipo de Participantes**	**Rangos de Edad**
Reclutando	No aportado	Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase III	50
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	No
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Multicéntrico internacional	tratamiento, seguridad, eficacia, farmacocinética, farmacodinamica	NO

Información

Identificador
2022-502148-10-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
CLNP023C12303

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

Enfermedad investigada
Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN)

Título Científico
Ensayo multicéntrico, abierto y de un único grupo en el que se evalúan la eficacia y la seguridad de iptacopán por

vía oral dos veces al día en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna que presenten Hb ¿10 g/dl como respuesta al tratamiento con anticuerpo anti-C5 y que cambien a iptacopán

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Demostrar la no inferioridad de iptacopán después de cambiar el tratamiento de referencia (anticuerpos anti-C5) en el cambio en la Hb respecto a la basal.

Variables de Evaluación Primaria

Cambio en los niveles de Hb como la media de los valores de las visitas realizadas entre los días 126 y 168 respecto a la basal, definida como la media de la Hb registrada en la selección (2 muestras) y el día 1

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

Demostrar la superioridad de iptacopán después de cambiar el tratamiento de referencia (anticuerpos anti-C5) en el cambio en la Hb respecto a la basal

Variables de Evaluación Secundaria

Measuring change in hemoglobin levels before start of iptacopan treatment and mean of hemoglobin levels at Day 126 and Day 168<br/

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

Se deberá firmar el consentimiento informado antes de la participación en el estudio. Participantes de ambos sexos ¿18 años de edad en el momento de la firma de los FCI y con un diagnóstico de HPN confirmado por un tamaño del

clon HPN ¿10 % en los leucocitos según los datos de la historia clínica. Haber recibido una pauta estable (dosis e intervalos) de un tratamiento con un anticuerpo anti-C5 (eculizumab o ravulizumab) durante al menos 6 meses antes de la selección. Media del nivel de hemoglobina ¿10 g/dl, determinada en cualquier laboratorio, documentada con la media de todas las evaluaciones de la hemoglobina disponibles (2 mediciones como mínimo) durante un periodo de 6 meses antes de la visita de selección. Además de cumplir el criterio de elegibilidad de la Hb, antes de comenzar a tomar iptacopán se deberán haber recogido dos muestras diferentes de los participantes durante el periodo de selección y haberse analizado en el laboratorio central obteniendo una media ¿10 g/dl. Nota: en el estudio se tratará de reclutar al menos a un 60 % de los pacientes con una media de la Hb <12 g/dl según la evaluación del laboratorio central en la selección; por lo tanto, el número de pacientes con una media de la Hb ¿12 g/dl en la selección se limitará al 40 % como máximo. Es obligatorio haber recibido la vacuna contra infecciones por Neisseria meningitidis y S. pneumoniae antes del inicio del tratamiento con iptacopán. Si el paciente no ha sido vacunado anteriormente, o si se requiere una vacuna de refuerzo, las vacunas se deberán administrar según la normativa local, al menos 2 semanas antes de recibir la primera dosis. Sin embargo, podrán administrarse estas vacunas menos de 2 semanas antes del inicio del tratamiento con iptacopán a criterio del investigador. Si el tratamiento con iptacopán se inicia menos de 2 semanas después de recibir la vacuna, se deberá administrar al participante antibiótico profiláctico al inicio del tratamiento con iptacopán y durante al menos 2 semanas después de recibir la vacuna. Si no se ha hecho anteriormente, es recomendable vacunarse contra las infecciones por Haemophilus influenzae, si la vacuna está disponible y según la normativa local. Se deberán administrar las vacunas al menos 2 semanas antes de iniciar el tratamiento con iptacopán. Sin embargo, podrán administrarse estas vacunas menos de 2 semanas antes del inicio del tratamiento con iptacopán a criterio del investigador. Si el tratamiento con iptacopán se inicia menos de 2 semanas después de recibir la vacuna, se deberá administrar al participante antibiótico profiláctico al inicio del tratamiento con iptacopán y durante al menos 2 semanas después de recibir la vacuna

Criterios de Exclusión

Estar participando en otro ensayo con un fármaco en investigación o estar recibiendo otros fármacos en investigación en el momento del reclutamiento o haberlo hecho durante las 5 vidas medias de eliminación o los 30 días anteriores al reclutamiento, aquel periodo que sea más largo, o durante más tiempo si así lo exige la normativa local.
Abuso actual de drogas o alcohol que pudiera interferir en la participación del paciente en el ensayo.
Cualquier enfermedad que se considere probable que interfiera en la participación del paciente en el estudio.
Pacientes que estén embarazadas o en periodo de lactancia o que piensen concebir durante el transcurso del estudio.
Haber requerido una transfusión de hematíes durante los 6 meses anteriores a la selección o durante la selección.
Antecedentes de trasplante de células madre hematopoyéticas o de trasplante de órgano sólido.
Infección bacteriana, vírica (incluida la COVID-19) o por hongos sistémica y activa durante los 14 días anteriores a la administración del fármaco del estudio.
Fiebre ¿38,0 °C durante los 7 días anteriores a la administración del fármaco del estudio.
Infección por virus de la inmunodeficiencia humana (VIH) (antecedentes conocidos de VIH o resultado positivo en las pruebas de anticuerpos del VIH en la selección).
Antecedentes de infecciones invasivas recurrentes causadas por organismos encapsulados, p. ej., meningococo o neumococo.
Enfermedad inestable incluyendo, entre otros, isquemia de miocardio, sangrado gastrointestinal activo, anemia crónica concomitante no relacionada con la HPN o acontecimiento trombótico inestable que no sean susceptibles de tratamiento activo según el investigador en la selección.
Antecedentes de tumor maligno de cualquier sistema orgánico (salvo carcinoma basocelular localizado de la piel o cáncer de cuello uterino in situ), tratado o no tratado, durante los últimos 5 años, independientemente de que existan o no pruebas de recurrencia local o metástasis

Calendario

(Última actualización: 28/05/2025)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
19/09/2023	27/10/2023	27/10/2023	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

Novartis Pharma AG Switzerland

Lichtstrasse 35

Contact Person

Novartis Pharma Arzneimittel GmbH

+499112730

legal.representative@novartis.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Hospital Clínico San Carlos

C/ Doctor Martín Lagos, s/n - Ciudad Universitaria 28040 Madrid

ceic.hcsc@salud.madrid.org

917044160

Centros

No iniciado (--/--/----)

Complexo Hospitalario Universitario De Santiago

Santiago De Compostela

CORUÑA

#2102: Hematologia

Cerrado (03/04/2025)

Hospital Clinic De Barcelona

Barcelona

BARCELONA

#2101: Hematologia

Medicamentos

IPTACOPAN
HARD GELATIN CAPSULES
ORAL

-

Principios Activos: N/A

Huérfano **Experimental**

Sin resultados

A multicenter, single arm, open-label trial to evaluate efficacy and safety of oral, twice daily iptacopan in adult PNH patients who have Hb10 g/dL in response to anti-C5 antibody and switch to iptacopan

State	Type of participants	Age Ranges
Recruiting	Not provided	Older than 64 , Adults (18-64 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase III	50
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	No
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
International multicenter	treatment, safety, effectiveness, pharmacokinetics, pharmacodynamics	NO

Information

Identifier
2022-502148-10-00 (CTIS)

Protocol Code
CLNP023C12303

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

Investigated Disease
Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)

Scientific Title
A multicenter, single arm, open-label trial to evaluate efficacy and safety of oral, twice daily iptacopan in adult PNH patients who have Hb10 g/dL in response to anti-C5 antibody and switch to iptacopan

Rationale

Not provided

Main Objective

The main question this trial is designed to answer: is iptacopan treatment equally effective to standard of care when switching treatment to iptacopan?

Primary Endpoints

Measuring change in hemoglobin levels before start of iptacopan treatment and mean of hemoglobin levels at Day 126 and Day 168

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

Is iptacopan better in effectiveness than standard of care treatment

Secondary Endpoints

Measuring change in hemoglobin levels before start of iptacopan treatment and mean of hemoglobin levels at Day 126 and Day 168

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

Signed informed consent must be obtained prior to participation in the study Male and female participants 18 years of age, at the time of ICF signatures and with a diagnosis of PNH confirmed by PNH clone size WBCs 10% based on historical data. Stable regimen (dose and intervals) of anti-C5 antibody treatment (either eculizumab or i.v. ravulizumab) for at least 6 months prior to screening Mean hemoglobin level 10 g/dL, documented by the mean of all available Hb assessments (minimum 2 measurements) over a period of 6 months before screening visit, collected at any laboratory. In addition to fulfill the Hb eligibility criterion, participants must have two different samples collected during the screening period and tested by the central laboratory with the mean >10 g/dL, prior to starting iptacopan.

Vaccination against Neisseria meningitidis and S. pneumoniae infection are required prior to the start of iptacopan treatment. If the patient has not been previously vaccinated, or if a booster is required, vaccine are to be given according to local regulations, at least 2 weeks prior to first dosing. However, administration of these vaccines less than 2 weeks prior to start of iptacopan treatment is at the discretion of the investigator. If iptacopan treatment is started less than 2 weeks post-vaccination, participant must be given prophylactic antibiotic at the start of iptacopan and for at least 2 weeks after vaccination. If not received previously, vaccination against Haemophilus influenzae infections is recommended, if available and according to local regulations. The vaccines should be given at least 2 weeks prior to initiation of iptacopan treatment. However, administration of these vaccines less than 2 weeks prior to start of iptacopan treatment, is at the discretion of the investigator. If iptacopan treatment is started less than 2 weeks post-vaccination, participant must be given prophylactic antibiotic at the start of iptacopan and for at least 2 weeks after vaccination. Able to communicate well with the investigator, to understand and comply with the requirements of the study

Exclusion criteria

Participation in any other investigational drug trial or use of other investigational drugs at the time of enrollment
Ongoing drug or alcohol abuse that could interfere with patient's participation in the trial.
Any medical condition deemed likely to interfere with the patient's participation in the study
Female patients who are pregnant or breastfeeding, or intending to conceive during the course of the study
Patients requiring red blood cell transfusion in the 6 months prior to screening or during screening
History of stem cell transplantation or any solid organ transplantation
Active systemic bacterial, viral (incl. COVID-19) or fungal infection within 14 days prior to study drug administration
Presence of fever 38.0 °C (100.4 °F) within 7 days prior to study drug administration
Human immunodeficiency virus (HIV) infection (known history of HIV or test positive for HIV antibody at Screening)
A history of recurrent invasive infections caused by encapsulated organisms, e.g. meningococcus or pneumococcus
Unstable medical condition including, but not limited to, myocardial ischemia, active gastrointestinal bleeding, coexisting chronic anemia unrelated to PNH, or unstable thrombotic event not amenable to active treatment as judged by the investigator at Screening.
History of cancer of any part of the body within the past 5 years

Calendar

(Last Update: 28/05/2025)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
19/09/2023	27/10/2023	27/10/2023	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

Novartis Pharma AG Switzerland

Lichtstrasse 35

Contact Person

Novartis Pharma Arzneimittel GmbH

+499112730

legal.representative@novartis.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Hospital Clínico San Carlos

C/ Doctor Martín Lagos, s/n - Ciudad Universitaria 28040 Madrid

ceic.hcsc@salud.madrid.org

917044160

Sites

not initialized (--/--/----)

Complexo Hospitalario Universitario De Santiago

Santiago De Compostela

CORUÑA

#2102: Hematologia

Closed (03/04/2025)

Hospital Clinic De Barcelona

Barcelona

BARCELONA

#2101: Hematologia

Medication

IPTACOPAN
HARD GELATIN CAPSULES
ORAL

-

Active Principles: N/A

Orphan **Experimental**

No results