Estudio de fase 3 de rusfertida (PTG-300) en pacientes con policitemia vera

Estado	**Tipo de Participantes**	**Rangos de Edad**
Fin Reclutamiento	No aportado	Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase III	148
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Sin determinar	tratamiento, seguridad, eficacia, farmacocinética, farmacodinamica	NO

Información

Identificador
2023-509750-58-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
VERIFY

Transicionado 2021-004732-29

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

Enfermedad investigada
Policitemia vera

Título Científico
Estudio de fase 3 del producto mimético de la hepcidina, rusfertida (PTG-300), en pacientes con policitemia vera

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Evaluar la seguridad y la eficacia de rusfertida en sujetos con policitemia vera para mantener el control del hematocrito.

Variables de Evaluación Primaria

Proporción de sujetos que logra una respuesta desde la semana 20 hasta la semana 32 (inclusive) con rusfertida en comparación con el placebo. La respuesta se define como la ausencia de elegibilidad para flebotomía. La elegibilidad para la flebotomía se define como cualquiera de los siguientes:
¿ hematocrito confirmado ¿45 % y que sea, como mínimo, 3 % superior al hematocrito basal. o
¿ un hematocrito ¿48 %

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

No aportado

Variables de Evaluación Secundaria

1 - Mean number of phlebotomies between Week 0 through Week 32 (inclusive). 2 - Proportion of subjects with all hematocrit values <45% between Week 0 through Week 32 (inclusive). 3 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Patient Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) Fatigue Short Form 8a total T-score 4 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Myelofibrosis Symptom Assessment Form version 4.0 (MFSAF) 5 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment Form (MPN-SAF)

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

Varones y mujeres de 18 (o la edad mínima de consentimiento específica del país si es > 18) años o más. Cumplir los criterios revisados de 2016 de la Organización Mundial de la Salud (OMS) para el diagnóstico de policitemia vera Necesidad de flebotomía, que se define como TODO lo siguiente: a. Al menos 3 flebotomías debido a un control insuficiente del hematocrito en las 28 semanas previas a la aleatorización o al menos 5 flebotomías debido a un control insuficiente del hematocrito en el año anterior a la aleatorización, y b. Última flebotomía por control insuficiente del hematocrito en los 3 meses previos a la aleatorización, y c. Ausencia de flebotomía en los 6 días previos a la aleatorización. (en el recuento de 6 días, no incluir el día de la flebotomía ni en de la aleatorización). Nota: Las flebotomías realizadas en un período de 8 días se contarán como una sola flebotomía Valores del hemograma inmediatamente antes de la aleatorización: a. Hematocrito <45%, b. Leucocitos de 4000/µl a 20.000/µl (ambos inclusive) y c. Plaquetas 100.000/µl a 1.000.000/µl (ambos inclusive). Los sujetos que reciban tratamiento citorreductor en el momento de la aleatorización deberán estar recibiendo una pauta estable de tratamiento para la PV. Los sujetos tratados con flebotomía sola en la aleatorización deberán haber interrumpido el tratamiento citorreductor entre 2 y 6 meses antes de la selección

Criterios de Exclusión

Anomalías analíticas clínicamente significativas en el periodo de selección.
Pacientes que precisen flebotomía con valores de hematocrito inferiores al 45%.
Trombosis clínicamente significativa (por ejemplo, trombosis venosa profunda o trombosis de la vena esplénica) en los 2 meses previos a la aleatorización.
Hemorragia activa o crónica en los 2 meses previos a la aleatorización.
Antecedentes de neoplasias malignas invasivas en los últimos 5 años, excepto
a) cáncer curado localizado (p. ej., cáncer de próstata y cáncer de cuello uterino).
b) carcinoma espinocelular de piel curado localizado in situ o en estadio 1,
carcinoma basocelular de piel o melanoma de piel in situ.
Sujetos con carcinoma espinocelular de piel in situ o en estadio 1. carcinoma basocelular de piel in situ o en estadio 1, o melanoma de piel in situ identificado durante la selección a menos que el cáncer se trate correctamente antes de la aleatorización.
Haber recibido busulfán, pipobromán o fósforo-32 en los 7 meses previos a la selección

Calendario

(Última actualización: 03/08/2026)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
01/06/2022	21/09/2022	25/11/2022	No aportado	No aportado

Fin de reclutamiento	Fin prematuro (España)	Fin prematuro (Global)	Fin del ensayo en España	Fin del ensayo global
20/03/2024	No aportado	No aportado	No aportado	No aportado

Promotor

Protagonist Therapeutics Inc. United States

7707 Gateway Boulevard

Contact Person

Medpace Regulatory Submissions

+34917900565

RS-Advisor-Support@medpace.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Hospital General Universitario Gregorio Marañón

C/ Doctor Esquerdo, 46 28007 Madrid

ceim.hgugm@salud.madrid.org

915867007

Centros

Activo (21/09/2022)

HOSPITAL CLINIC DE BARCELONA

Barcelona

BARCELONA

Activo (31/01/2023)

HOSPITAL DEL MAR.

Barcelona

BARCELONA

Activo (21/09/2022)

Hospital General Universitario Gregorio Maranon

Madrid

MADRID

Cerrado (11/03/2026)

HOSPITAL QUIRONSALUD ZARAGOZA

Zaragoza

ZARAGOZA

Activo (23/06/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Activo (10/05/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO RAMON Y CAJAL

Madrid

MADRID

Cerrado (11/06/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARIO Y POLITECNICO LA FE

València

VALENCIA

Cerrado (22/01/2026)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

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

Institut Catala D'oncologia

Badalona

BARCELONA

Hematology

Activo (21/12/2022)

Institut Catala D'oncologia

Badalona

BARCELONA

Medicamentos

Rusfertide 10mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Principios Activos: N/A
Huérfano Experimental

Rusfertide 20mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Principios Activos: N/A
Huérfano Experimental

Rusfertide 30mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Principios Activos: N/A
Huérfano Experimental

Rusfertide 45mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Principios Activos: N/A
Huérfano Experimental

Rusfertide 60mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Principios Activos: N/A
Huérfano Experimental

Sin resultados

A Phase 3 Study of Rusfertide (PTG-300) in Patients with Polycythemia Vera

State	**Type of participants**	**Age Ranges**
End of recruitment	Not provided	Older than 64 , Adults (18-64 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase III	148
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
Undetermined	treatment, safety, effectiveness, pharmacokinetics, pharmacodynamics	NO

Information

Identifier
2023-509750-58-00 (CTIS)

Protocol Code
VERIFY

Transitioned 2021-004732-29

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

Investigated Disease
Polycythemia Vera

Scientific Title
A Phase 3 Study of the Hepcidin Mimetic Rusfertide (PTG-300) in Patients with Polycythemia Vera

Rationale

Not provided

Main Objective

To evaluate the safety and efficacy of rusfertide in subjects with polycythemia vera in maintaining hematocrit control.

Primary Endpoints

Proportion of subjects achieving a response starting at Week 20 through Week 32 (inclusive) who receive rusfertide compared to placebo. A response is defined as absence of phlebotomy eligibility. Phlebotomy eligibility is defined as either: a confirmed hematocrit 45% and that is at least 3% higher than the baseline hematocrit (value immediately prior to randomization at Week 0); or a hematocrit 48%.

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

Not provided

Secondary Endpoints

1 - Mean number of phlebotomies between Week 0 through Week 32 (inclusive). 2 - Proportion of subjects with all hematocrit values <45% between Week 0 through Week 32 (inclusive). 3 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Patient Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) Fatigue Short Form 8a total T-score 4 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Myelofibrosis Symptom Assessment Form version 4.0 (MFSAF) 5 - Mean change from baseline at end of Part 1a (Week 32) in the Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment Form (MPN-SAF)

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

1 - Male and female subjects aged 18 (or the minimum country specific age of consent if >18) years or older. 2 - Meet revised 2016 World Health Organization (WHO) criteria for the diagnosis of polycythemia vera 3 - Phlebotomy

requiring defined as ALL of the following: a. At least 3 phlebotomies due to inadequate hematocrit control in 28 weeks before randomization or at least 5 phlebotomies due to inadequate hematocrit control in 1 year before randomization, and b. Last phlebotomy due to inadequate hematocrit control within 3 months before randomization, and c. No phlebotomy within 6 days prior to randomization (do not include day of phlebotomy and day of randomization in the 6-day count). Note: Phlebotomies performed within an 8-day period will be counted as a single phlebotomy 4 - CBC values immediately prior to randomization: a. Hematocrit <45%, b. WBC 4000/µL to 20,000/µL (inclusive) and c. Platelets 100,000/µL to 1,000,000/µL (inclusive). 5 - Subjects receiving cytoreductive therapy at randomization must be on a stable PV therapy regimen 6 - Subjects treated with phlebotomy alone at randomization must have stopped cytoreductive therapy 2 to 6 months before screening.

Exclusion criteria

1 - Clinically meaningful laboratory abnormalities at Screening
2 - Subjects who require phlebotomy at hematocrit levels lower than 45%
3 - Clinically significant thrombosis (e.g., deep vein thrombosis or splenic vein thrombosis) within 2 months prior to randomization.
4 - Active or chronic bleeding within 2 months prior to randomization.
5 - History of invasive malignancies within the last 5 years, except a) localized cured cancer (e.g. prostate cancer and cervical cancer). b) localized cured in situ or stage 1 squamous cell carcinoma of the skin, basal cell carcinoma of the skin, or in situ melanoma of the skin.
6 - Subjects with in situ or stage 1 squamous cell carcinoma of the skin, in situ or stage 1 basal cell carcinoma of the skin, or in situ melanoma of the skin identified during screening unless the cancer is adequately treated before randomization.
7 - Received busulfan, pipobroman or 32Phosphorus within 7 months prior to screening.

Calendar

(Last Update: 03/08/2026)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
01/06/2022	21/09/2022	25/11/2022	Not aported	Not aported

End of recruitment	Premature end (Spain)	Premature End (Global)	Trial end (Spain)	Trial end (Global)
20/03/2024	Not aported	Not aported	Not aported	Not aported

Sponsor

Protagonist Therapeutics Inc. United States

7707 Gateway Boulevard

Contact Person

Medpace Regulatory Submissions

+34917900565

RS-Advisor-Support@medpace.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Hospital General Universitario Gregorio Marañón

C/ Doctor Esquerdo, 46 28007 Madrid

ceim.hgugm@salud.madrid.org

915867007

Sites

Active (21/09/2022)

HOSPITAL CLINIC DE BARCELONA

Barcelona

BARCELONA

Active (31/01/2023)

HOSPITAL DEL MAR.

Barcelona

BARCELONA

Active (21/09/2022)

Hospital General Universitario Gregorio Maranon

Madrid

MADRID

Closed (11/03/2026)

HOSPITAL QUIRONSALUD ZARAGOZA

Zaragoza

ZARAGOZA

Active (23/06/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARI VALL D'HEBRON

Barcelona

BARCELONA

Active (10/05/2023)

HOSPITAL UNIVERSITARIO RAMON Y CAJAL

Madrid

MADRID

Closed (11/06/2024)

HOSPITAL UNIVERSITARIO Y POLITECNICO LA FE

València

VALENCIA

Closed (22/01/2026)

HOSPITAL UNIVERSITARIO 12 DE OCTUBRE

Madrid

MADRID

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

Institut Catala D'oncologia

Badalona

BARCELONA

Hematology

Active (21/12/2022)

Institut Catala D'oncologia

Badalona

BARCELONA

Medication

Rusfertide 10mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Active Principles: N/A
Orphan Experimental

Rusfertide 20mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Active Principles: N/A
Orphan Experimental

Rusfertide 30mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Active Principles: N/A
Orphan Experimental

Rusfertide 45mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Active Principles: N/A
Orphan Experimental

Rusfertide 60mg
INJECTION
SUBCUTANEOUS USE

-
Active Principles: N/A
Orphan Experimental

No results