Estudio de investigación sobre el tratamiento a largo plazo con etavopivat en personas con anemia falciforme o talasemia

Estado	**Tipo de Participantes**	**Rangos de Edad**
Reclutando	No aportado	Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase III	430
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Sin determinar	seguridad, eficacia	NO

Información

Identificador
2024-510805-27-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
NN7535-7822

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

Enfermedad investigada
Anemia de células falciformes y talasemia

Título Científico
Estudio abierto, multicéntrico, de continuación para caracterizar la eficacia y la seguridad a largo plazo de etavopivat en adultos, adolescentes y niños con anemia falciforme o talasemia que han completado un periodo de tratamiento en un estudio de etavopivat

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Investigar la seguridad a largo plazo de etavopivat en adultos, adolescentes y niños con ACF, ACFDT, TDT o TNDT transferidos de los estudios Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 y Gladiolus

Variables de Evaluación Primaria

Número de AAST, notificado por cada indicación y grupo de edad por separado.
Número de reacciones adversas, notificado por cada indicación y grupo de edad por separado

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

Investigar las medidas de la eficacia clínica a largo plazo del tratamiento con etavopivat en adultos, adolescentes y niños con ACF transferidos de los estudios Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 y Gladiolus
Evaluar los efectos de etavopivat sobre las hospitalizaciones en adultos, adolescentes y niños con ACF transferidos de los estudios Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 y Gladiolus
Investigar las medidas de la eficacia clínica a largo plazo del tratamiento con etavopivat en adultos y adolescentes con TNDT transferidos del estudio Gladiolus
Investigar las medidas de la eficacia clínica a largo plazo del tratamiento con etavopivat en adultos y adolescentes con TDT o ACFDT transferidos del estudio Gladiolu

Variables de Evaluación Secundaria

Annualised VOC rates, reported for each age group separately
Change in VOCs, reported for each age group separately
Change in Hb concentration, reported for each age group separately
Annualised number of hospitalisations, reported for each age group separately
Average length of stay of hospitalisations, reported for each age group separately
Change in Hb concentration
Number of RBC units transfused, reported for each indication separately
Change in RBC units transfused, reported for each indication separately

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

Obtención del consentimiento informado antes de realizar cualquier actividad relacionada con el estudio. Las actividades relacionadas con el estudio son todos aquellos procedimientos llevados a cabo como parte del estudio, incluidas las actividades para determinar la idoneidad para participar.
El participante debe estar participando de forma ininterrumpida en un estudio principal de etavopivat (tabla 4-1) para el tratamiento de la ACF o la talasemia y haber completado, al menos, un periodo de tratamiento del estudio principal.
El participante debe haber obtenido un beneficio clínico del tratamiento con etavopivat, según lo determine el investigador.
Todo participante con reducción o interrupción temporal de la dosis deberá volver a someterse a la exposición antes de la transferencia.
Los participantes en tratamiento con hidroxicarbamida (HC), crizanlizumab o l-glutamina en polvo oral (Endari®) en el momento del consentimiento pueden ser aptos si han recibido una dosis estable en el estudio principal, definida a criterio del investigador. Se aceptan los ajustes necesarios relacionados con el peso o la edad. Se puede considerar que los participantes con pausas o reducciones temporales de la dosis por motivos médicos reciben igualmente una dosis estable, según determine el investigador, que evaluará el efecto de estos ajustes en función del contexto clínico y del estado de salud general del paciente

Criterios de Exclusión

Participación previa en este estudio. La participación se define como el consentimiento informado firmado. Mujeres embarazadas, con intención de quedarse embarazadas o en edad de concebir que no estén utilizando métodos anticonceptivos adecuados, según se define en el Apéndice 4 (sección ¿10.4). Todo trastorno, excepto las afecciones asociadas a la ACF o la talasemia, que en opinión del investigador, pueda poner en peligro la seguridad del participante o el cumplimiento del protocolo. El participante se retiró o interrumpió de forma permanente el tratamiento de un estudio clínico de etavopivat. Participantes con reducción permanente de la dosis del tratamiento (>28 días o más) o interrupción temporal del tratamiento en curso. Uso de cualquiera de los siguientes en los plazos anteriores a la visita de transferencia que se indican: a) uso de inhibidores de la polimerización de la hemoglobina S (HbS) durante la participación en el estudio principal o necesidad prevista de este fármaco durante este estudio; b) uso de un antagonista experimental de la selectina (p. ej., anticuerpo monoclonal o molécula pequeña) en el estudio principal o necesidad prevista de dichos fármacos durante este estudio; c) uso de eritropoyetina, u otro tratamiento con factor de crecimiento hematopoyético, durante más de 4 semanas consecutivas en el estudio principal o necesidad prevista de dicho fármaco durante el tratamiento de mantenimiento en este estudio; d) recepción o uso de medicamentos concomitantes que sean inductores potentes del citocromo P450 (CYP) 3A4 en las 2 semanas anteriores a la visita de transferencia o necesidad prevista de dichos fármacos durante el estudio. Para obtener orientación sobre los inductores potentes de CYP 3A4, véase la sección 6.8 Participación actual en un estudio distinto del estudio principal designado o participación prevista en cualquier otro ensayo clínico mientras dure el estudio FLORAL

Calendario

(Última actualización: 10/08/2026)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
22/11/2024	09/01/2025	29/01/2025	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

Novo Nordisk A/S Denmark

Novo Alle 1

Contact Person

EU Submission Hub

+4544448888

EUSUBHUB@novonordisk.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Hospital Universitario Puerta de Hierro de Majadahonda

C/ Joaquin Rodrigo, 2 Majadahonda 28222 Madrid

secreceic.hpth@salud.madrid.org

911917479-911917662

Centros

Activo (30/01/2025)

Fundacio Hospital Universitari Vall DHebron Institut De Recerca

Barcelona

BARCELONA

N/A

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

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

N/A

Activo (09/01/2025)

Hospital Universitario De Cruces

Barakaldo

VIZCAYA/BIZKAIA

N/A

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

Hospital Universitario La Paz

Madrid

MADRID

N/A

Medicamentos

Etavopivat A 200 mg
TABLET
ORAL

-

Principios Activos: N/A

Huérfano Experimental

Sin resultados

A research study looking at long-term treatment with etavopivat in people with sickle cell disease or thalassaemia

State	**Type of participants**	**Age Ranges**
Recruiting	Not provided	Older than 64 , Adults (18-64 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase III	430
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
2024-510805-27-00 (CTIS)

Protocol Code
NN7535-7822

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

Investigated Disease
Sickle Cell Disease and Thalassaemia

Scientific Title
An open-label, multi-centre, rollover study to characterise long-term safety and efficacy of etavopivat in adults, adolescents and children who have sickle cell disease or thalassaemia and have completed a treatment period in an etavopivat study

Rationale

Not provided

Main Objective

To investigate long-term safety of etavopivat in adults, adolescents and children with SCD, SCDTD, TDT or NTDT transferring from the Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 and Gladiolus studies

Primary Endpoints

Number of TEAEs, reported for each indication and age group separately
Number of adverse reactions, reported for each indication and age group separately

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

To investigate long-term clinical efficacy measures of etavopivat treatment in adults, adolescents and children with SCD transferring from the Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 and Gladiolus studies
To evaluate the effects of etavopivat on hospitalisations in adults, adolescents and children with SCD transferring from the Hibiscus, HibiscusKids, Hibiscus3 and Gladiolus studies
To investigate long-term clinical efficacy measures of etavopivat treatment in adults and adolescents with NTDT transferring from the Gladiolus study
To investigate long-term clinical efficacy measures of etavopivat treatment in adults and adolescents with TDT or SCDTD, transferring from the Gladiolus study

Secondary Endpoints

Annualised VOC rates, reported for each age group separately
Change in VOCs, reported for each age group separately
Change in Hb concentration, reported for each age group separately
Annualised number of hospitalisations, reported for each age group separately
Average length of stay of hospitalisations, reported for each age group separately
Change in Hb concentration
Number of RBC units transfused, reported for each indication separately
Change in RBC units transfused, reported for each indication separately

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

Informed consent obtained before any study-related activities. Study-related activities are any procedures that are carried out as part of the study, including activities to determine suitability for the study.
Participant must have ongoing participation in an etavopivat parent study (Table 41) for treatment of SCD or thalassaemia and have completed at least a treatment period of the parent study.
Participant must have derived clinical benefit from treatment with etavopivat, as determined by the investigator.
Any participant with dose reduction or temporary discontinuation will need to be rechallenged before transferring.
Participants on hydroxyurea (HU), crizanlizumab or l-glutamine oral powder (Endari®) treatment at the time of consent may be eligible if they have been on a stable dose in the parent study as defined at the investigator's discretion. Necessary adjustments related to weight or age are accepted. Participants with temporary dose reductions or pauses due to medical reasons may still be considered to have a stable dose, as determined by the investigator, who will assess the impact of these adjustments based on clinical context and the patients overall health status.

Exclusion criteria

Previous participation in this study. Participation is defined as signed informed consent. Female who is pregnant or intends to become pregnant or is of childbearing potential and not using adequate contraceptive method, as defined in Appendix 4 (Section 10.4). Any disorder, except for conditions associated with SCD or thalassaemia, which in the investigators opinion might jeopardise participants safety or compliance with the protocol. Participant withdrew or had permanent treatment discontinuation from an etavopivat clinical study. Participants on permanent treatment dose reduction (>28 days or more) or ongoing temporary treatment discontinuation. Use of any of the following within the timeframes prior to the transfer visit as stated: a) Use of hemoglobin S (HbS) polymerization inhibitors within participation of the parent study or anticipated need for this agent during this study, b) Use of an experimental selectin antagonist (e.g., monoclonal antibody or small molecule) within the parent study or anticipated need for such agents during this study, c) Use of erythropoietin or other haematopoietic growth factor treatment for more than 4 consecutive weeks during the parent study or anticipated need of such agent for a maintenance treatment during this study, d) Receiving or use of concomitant medications that are strong inducers of cytochrome P450 (CYP) 3A4 within 2 weeks of the transfer visit or anticipated need for such agents during the study. For guidance on strong inducers of CYP 3A4, see Section 6.8 Current participation in a study that is not a designated parent study, or planned participation in any other clinical trial, for the duration of FLORAL

Calendar

(Last Update: 10/08/2026)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
22/11/2024	09/01/2025	29/01/2025	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

Novo Nordisk A/S Denmark

Novo Alle 1

Contact Person

EU Submission Hub

+4544448888

EUSUBHUB@novonordisk.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Hospital Universitario Puerta de Hierro de Majadahonda

C/ Joaquin Rodrigo, 2 Majadahonda 28222 Madrid

secreceic.hpth@salud.madrid.org

911917479-911917662

Sites

Active (30/01/2025)

Fundacio Hospital Universitari Vall DHebron Institut De Recerca

Barcelona

BARCELONA

N/A

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

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

N/A

Active (09/01/2025)

Hospital Universitario De Cruces

Barakaldo

VIZCAYA/BIZKAIA

N/A

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

Hospital Universitario La Paz

Madrid

MADRID

N/A

Medication

Etavopivat A 200 mg

TABLET

ORAL

-

Active Principles: N/A

Orphan **Experimental**

No results