Estudio para evaluar cómo funciona un medicamento oral llamado rilzabrutinib y hasta qué punto es seguro para adultos con trombocitopenia inmunitaria (TPI) que no respondieron a tratamientos de primera línea como corticosteroides, inmunoglobulina intravenosa y/o inmunoglobulina anti-D.

Estado	**Tipo de Participantes**	**Rangos de Edad**
Reclutando	No aportado	Mayores de 64 , Adultos (18-64 años)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase III	17
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	No
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Sin determinar	seguridad, eficacia	NO

Información

Identificador
2025-522070-36-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
LPS18573

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

Enfermedad investigada
trombocitopenia inmune (TPI)

Título Científico
Estudio multicéntrico abierto y de un solo grupo para evaluar la eficacia y la seguridad de rilzabrutinib oral en adultos con trombocitopenia inmune (TPI) que no respondieron al tratamiento de primera línea

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

El objetivo principal de este estudio es investigar si rilzabrutinib puede obtener un aumento duradero en el recuento de plaquetas en adultos con TPI primaria que no responden al tratamiento inicial.

Variables de Evaluación Primaria

El objetivo principal del estudio es comprobar la respuesta plaquetaria duradera, es decir, ver cuántos participantes pueden mantener su recuento de plaquetas en un nivel seguro.
La respuesta plaquetaria duradera es el porcentaje de participantes que pueden mantener un recuento de plaquetas de al menos 50 000/¿l (o entre 30 000/¿l y 50 000/¿l y al menos el doble de su recuento inicial) durante al menos la mitad de sus controles de plaquetas programados cada 2 semanas y durante al menos 4 visitas válidas en las últimas 12 semanas del estudio, sin necesidad de tratamiento de rescate

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

También se comprobará la eficacia de rilzabrutinib en estos adultos durante el estudio y evaluará su seguridad y tolerabilidad, así como su influencia en la calidad de vida

Variables de Evaluación Secundaria

1.Overall platelet response: The percentage of participants who can achieve 2 platelet counts, at least 5 days apart, of at least 50,000/L (or between 30,000/L and 50,000/L but at least double their starting count) without needing rescue treatment in the 4 weeks before the first high platelet count.
2.Duration of platelet response: The total number and proportion of weeks where participants maintain platelet counts of at least 50,000/L (or between 30,000/L and 50,000/L but at least double their starting count) without needing rescue treatment in the 4 weeks before the high platelet count in participants who achieve a response.
3.Bleeding: The change in immune thrombocytopenia bleeding scale score from the start of the study to the end of Week 28.
4.Corticosteroid-sparing effect: The percentage of participants who can stop or reduce their corticosteroid dose by at least 50% or to less than 5 mg/day (prednisone equivalent) from the start of the study by the end of Week 28

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

I 01. Los participantes deben tener 18 años o más en el momento de la firma del consentimiento informado. I 10. Los participantes deben ser capaces de otorgar el consentimiento informado firmado, tal como se describe en la sección 10.1 del anexo 1 del protocolo, que incluye el cumplimiento de los requisitos y las restricciones mencionados en el formulario de consentimiento informado (FCI) y en este protocolo. En los países en los que la mayoría de edad legal es superior a 18 años, el representante legal autorizado del participante también debe firmar un FCI específico (anexo 1, sección 10.1.3). I 02. Participantes de ambos sexos con diagnóstico documentado de TPI primaria en la historia clínica. I 03. Participantes con un estado funcional de 2 o inferior del Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG). I 04. Los participantes deben haber recibido al menos un curso de tratamiento de primera línea según las directrices internacionales o el tratamiento de referencia (por ejemplo, CS orales o parenterales, IgIV, anti-D). Nota: los participantes pueden haber recibido múltiples cursos de tratamiento de primera línea, ya sea secuencialmente o en combinación. I 05. Antecedentes de respuesta plaquetaria durante el tratamiento con el tratamiento de primera línea. I 06. El participante presenta pérdida de respuesta, recaída o dependencia de esteroides. I 07. Consulte el protocolo del estudio. I 08. Todo uso de anticonceptivos por parte de varones y mujeres debe ser coherente con las normativas locales en relación a los métodos anticonceptivos para quienes participan en estudios clínicos. I 09. Función hematológica, hepática y renal adecuada (hemoglobina >9 g/dl en 1 semana antes del día 1 del estudio), recuento absoluto de neutrófilos ¿1500/¿l, AST y ALT ¿1,5 × límite superior de la normalidad (LSN), albúmina ¿3 g/dl, bilirrubina total ¿1,5 × LSN (a menos que el participante tenga síndrome de Gilbert documentado), tasa de filtración glomerular estimada (TFGe) >50 ml/min/1,73 m² (ecuación de creatinina CKD-EPI 2021 [Race-Free]), valores de razón normalizada internacional (INR) y tiempo de tromboplastina parcial activada (APTT) dentro del 20 % de los intervalos normales

Criterios de Exclusión

E 01. Participantes con diagnóstico de TPI secundaria.
E 18. El participante recibió tratamiento posterior/avanzado para el tratamiento de la TPI o se le realizó una esplenectomía antes del día 1 del estudio.
E 19. El participante recibió medicamentos que se sabe que potencialmente mejoran la trombocitopenia para tratar otras afecciones dentro de 5 veces la semivida de eliminación del medicamento o en los 14 días posteriores al día 1 del estudio, el periodo que sea más largo, o se tiene previsto que el participante reciba tratamiento con medicamentos que se sabe que potencialmente mejoran la trombocitopenia para cualquier indicación durante el curso del estudio.
E 10. Infección por VIH.
E 20. Consulte el protocolo del estudio.
E 21. Consulte el protocolo del estudio.
E 22. Consulte el protocolo del estudio.
E 23. Consulte el protocolo del estudio.
E 24. Consulte el protocolo del estudio.
E 25. Haber recibido cualquier fármaco en investigación en los 6 meses previos o 5 semividas, lo que sea más largo, o estar participando en otro ensayo clínico.
E 26. Participantes embarazadas o en período de lactancia.
E 02. Participantes con diagnóstico de síndrome de Evans.
E 27. Personas internadas en una institución por orden reglamentaria o legal; presos o participantes internados legalmente.
E 28. Participantes no aptos para participar, cualquiera que sea el motivo, a juicio del investigador, incluidas afecciones médicas o clínicas, o participantes con riesgo potencial de incumplimiento de los procedimientos del estudio.
E 11. Antecedentes de tuberculosis (TB) activa o latente (a menos que el participante haya completado un ciclo

completo de terapia antituberculosa o que un especialista confirme que el participante ha recibido el tratamiento adecuado y que puede comenzar el tratamiento con un inmunodepresor). Prueba positiva para la tuberculosis (QuantiFERON-TB-Gold [QFT] o equivalente) realizada en la visita de selección o en los 3 meses previos a la selección.
E 29. Participantes que sean empleados del centro del estudio clínico u otras personas directamente involucradas en la realización del estudio, o familiares inmediatos de dichas personas (en combinación con la sección 1.61 de la Guía E6 de Buena Práctica Clínica [BPC] del Consejo Internacional de Armonización [ICH]).
E 30. Sensibilidad a cualquiera de las intervenciones del estudio o sus componentes, fármaco u otra alergia que, en opinión del investigador, suponga una contraindicación para la participación en el estudio.
E 12. Participantes con infección por VHB no controlada o activa: participantes con HBsAg positivo y/o ADN del VHB.
E 13. Participantes con infección activa por VHC: ARN del VHC positivo y anticuerpos contra el VHC positivos.
E 14. Abuso actual de drogas o alcohol.
E 15. Náuseas y vómitos resistentes al tratamiento, mala absorción, derivación biliar externa, resección de intestino significativa o cualquier otra afección que impida la absorción adecuada del fármaco del estudio.
E 16. Participantes que se hayan sometido a una cirugía mayor en los 28 días anteriores al día 1 del estudio o que tengan prevista una cirugía durante el periodo del estudio.
E 03. Participantes con antecedentes de síndrome mielodisplásico.
E 17. Consulte el protocolo del estudio.
E 04. Participante con antecedentes o que presentan actualmente sangrado potencialmente mortal (por ejemplo, un sangrado que produce inestabilidad hemodinámica o compromiso respiratorio) debido a la TPI.
E 05. Participantes con antecedentes médicos de linfoma, leucemia o cualquier neoplasia maligna en los últimos 5 años, excepto carcinomas basocelulares o epiteliales espinocelulares de la piel que hayan sido resecados sin indicios de enfermedad metastásica en los últimos 3 años.
E 06. Participantes con antecedentes de trasplante de órgano sólido.
E 07. Participantes con antecedentes de trastornos de la coagulación o sangrado, incluidas afecciones genéticas, distintos de la TPI.
E 08. Consulte el protocolo del estudio.
E 09. Prueba molecular para COVID-19 positiva (si se requiere prueba de COVID-19 según las pautas locales que se determinarán para cada centro)

Calendario

(Última actualización: 11/08/2026)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
08/10/2025	27/04/2026	27/04/2026	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

Sanofi-Aventis Recherche & Developpement France

82 Avenue Raspail

Contact Person

Clinical Sciences and Operations

+8006331610

contact-us@sanofi.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CElm Parc Tauli

Plaça de la Torre de lAigua, s/n 08208 Sabadell

ceic@tauli.cat

937458454-937458451

Centros

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

Hospital Del Mar

Barcelona

BARCELONA

Hematology

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

Hospital General Universitario Gregorio Maranon

Madrid

MADRID

Hematology

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

Hospital General Universitario Morales Meseguer

Murcia

MURCIA

Hematology

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

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

Hematology

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

Hospital Universitario De Burgos

Burgos

BURGOS

Hematology

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

Hospital Universitario De Canarias

San Cristobal De La Laguna

STA. CRUZ DE TENERIFE

Hematology

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

Hospital Universitario De Salamanca

Salamanca

SALAMANCA

Hematology

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

Hospital Universitario La Paz

Madrid

MADRID

Hematology

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

University Hospital Son Espases

Palma

BALEARES

Hematology

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

University Hospital Virgen Del Rocio S.L.

Sevilla

SEVILLA

Hematology

Medicamentos

Rilzabrutinib
TABLET
ORAL USE

-

Principios Activos: N/A

Huérfano **Experimental**

Sin resultados

A study to test how well an oral medication called rilzabrutinib works and how safe it is for adults with immune thrombocytopenia (ITP) who did not respond to first-line treatments such as corticosteroids, intravenous immunoglobulin, and/or anti-D immunoglobulin.

State	**Type of participants**	**Age Ranges**
Recruiting	Not provided	Older than 64 , Adults (18-64 years)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase III	17
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	No
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
Undetermined	safety, effectiveness	NO

Information

Identifier
2025-522070-36-00 (CTIS)

Protocol Code
LPS18573

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

Investigated Disease
immune thrombocytopenia (ITP)

Scientific Title
A multi-center, open-label, single-arm study to evaluate the efficacy and safety of oral rilzabrutinib in adults with immune thrombocytopenia (ITP) who failed first-line treatment

Rationale

Not provided

Main Objective

The main goal of this study is to investigate if rilzabrutinib can provide a long-lasting increase in platelet count in adults with primary ITP who fail first-line treatment.

Primary Endpoints

The main study endpoint is to check the durable platelet response ie, to see how many participants can keep their platelet count at a safe level.
The durable platelet response is the percentage of participants who can maintain a platelet count of at least 50,000 /L (or between 30,000/L and 50,000/L and at least double their starting count) for at least half of their scheduled platelet checks every 2 weeks and for at least 4 valid visits in the last 12 weeks of the study, without needing rescue treatment.

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

The study will also check how well rilzabrutinib works in these adults during the study and assess its safety and tolerability, as well as quality of life.

Secondary Endpoints

1.Overall platelet response: The percentage of participants who can achieve 2 platelet counts, at least 5 days apart, of at least 50,000/L (or between 30,000/L and 50,000/L but at least double their starting count) without needing rescue treatment in the 4 weeks before the first high platelet count.
2.Duration of platelet response: The total number and proportion of weeks where participants maintain platelet counts of at least 50,000/L (or between 30,000/L and 50,000/L but at least double their starting count) without needing rescue treatment in the 4 weeks before the high platelet count in participants who achieve a response.
3.Bleeding: The change in immune thrombocytopenia bleeding scale score from the start of the study to the end of Week 28.
4.Corticosteroid-sparing effect: The percentage of participants who can stop or reduce their corticosteroid dose by at least 50% or to less than 5 mg/day (prednisone equivalent) from the start of the study by the end of Week 28

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

I 01. Participant must be 18 or above years of age inclusive, at the time of signing the informed consent. I 10. Capable of giving signed informed consent as described in Appendix 1 Section 10.1 of the protocol which includes compliance with the requirements and restrictions listed in the informed consent form (ICF) and in this protocol. In countries where legal age of majority is above 18 years, a specific ICF must also be signed by the participants legally authorized representative (Appendix 1 Section 10.1.3). I 02. Male and female participants with a documented diagnosis of primary ITP in the medical history. I 03. Participants with Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) performance status grade 2 or lower. I 04. Participant received at least one course of first-line therapy per international guidelines or local standard of care (eg, oral or parenteral CS, IVIg, anti-D). Note: Participants may have received multiple courses of first-line therapy, either sequentially or in combination. I 05. History of platelet response while on-treatment with first-line therapy. I 06. Participant has loss of response, relapse, or steroid dependency. I 07. Please see study protocol. I 08. All contraceptive use by men and women should be consistent with local regulations regarding the methods of contraception for those participating in clinical studies. I 09. Adequate hematologic, hepatic, and renal function (hemoglobin >9 g/dL within 1 week prior to Study Day 1), absolute neutrophil count 1500/L,, AST and ALT 1.5×upper limit of normal (ULN), albumin 3 g/dL, total bilirubin 1.5×ULN (unless the participant has documented Gilbert syndrome), estimated glomerular filtration rate (GFR) >50mL/min/1.73m² (CKD-EPI 2021 Creatinine Equation [Race-Free]), International normalized ratio (INR) and activated partial thromboplastin time (APTT) values are within 20% of the normal ranges.

Exclusion criteria

E 01. Participants with diagnosis of secondary ITP.
E 18. Participant received subsequent/advanced treatment for the treatment of ITP or was splenectomized before Study Day 1
E 19. Participant received drugs known to potentially improve thrombocytopenia to treat other conditions within 5 times the elimination half-life of the drug or within 14 days of Study Day 1, whichever is longer, or the participant is planned to receive treatment with drugs known to potentially improve thrombocytopenia for any indication during the course of the study.
E 10. HIV infection.
E 20. Please see study protocol.
E 21. Please see study protocol.
E 22. Please see study protocol.
E 23. Please see study protocol.
E 24. Please see study protocol.
E 25. Received any investigational drug within 6 months or 5 half-lives, whichever is longer, or is participating in another clinical trial.
E 26. Participant during pregnancy or nursing.
E 02. Participants with a diagnosis of Evans syndrome.
E 27. Individuals accommodated in an institution because of regulatory or legal order; prisoners or participants who are legally institutionalized.
E 28. Participant not suitable for participation, whatever the reason, as judged by the Investigator, including medical or clinical conditions, or participants potentially at risk of noncompliance to study procedures.
E 11. A history of active or latent tuberculosis (TB) (unless the participant has completed a full course of anti-tuberculosis therapy or it is documented by a specialist that the participant has been adequately treated and can begin treatment with an immunosuppressive agent). A positive test for TB (QuantiFERON-TB-Gold [QFT] or equivalent) performed at the screening visit or within the 3 months prior to screening.
E 29. Participants are employees of the clinical study site or other individuals directly involved in the conduct of the study, or immediate family members of such individuals (in conjunction with section 1.61 of the International Council

for Harmonization Good Clinical Practice [GCP] Ordinance E6).
E 30. Sensitivity to any of the study intervention, or components thereof, or drug or other allergy that, in the opinion of the Investigator, contraindicates participation in the study.
E 12. Participants with uncontrolled or active HBV infection: Participants with positive HBsAg and/or HBV DNA.
E 13. Participants with active HCV infection: positive HCV-RNA and positive anti-HCV.
E 14. Current drug or alcohol abuse.
E 15. Refractory nausea and vomiting, malabsorption, external biliary shunt, significant bowel resection, or any other condition that would preclude adequate study drug absorption.
E 16. Participants who have undergone major surgery within 28 days prior to Study Day 1 or have planned surgery in the time frame of the study.
E 03. Participants with history of myelodysplastic syndrome
E 17. Please see study protocol.
E 04. Participant with history of or current life-threatening bleeding (eg., a bleed that results in hemodynamic instability or respiratory compromise) due to ITP.
E 05. Participants with medical history of lymphoma, leukemia, or any malignancy within the past 5 years except for basal cell or squamous epithelial carcinomas of the skin that have been resected with no evidence of metastatic disease for the past 3 years.
E 06. Participants with history of solid organ transplant.
E 07. Participants with history of coagulation or bleeding disorders, including genetic conditions, other than ITP.
E 08. Please see the study protocol.
E 09. Positive COVID-19 molecular test (if COVID-19 testing required per local guidelines to be determined for each site).

Calendar

(Last Update: 11/08/2026)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
08/10/2025	27/04/2026	27/04/2026	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

Sanofi-Aventis Recherche & Developpement France

82 Avenue Raspail

Contact Person

Clinical Sciences and Operations

+8006331610

contact-us@sanofi.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Parc Tauli

Plaça de la Torre de lAigua, s/n 08208 Sabadell

ceic@tauli.cat

937458454-937458451

Sites

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

Hospital Del Mar

Barcelona

BARCELONA

Hematology

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

Hospital General Universitario Gregorio Maranon

Madrid

MADRID

Hematology

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

Hospital General Universitario Morales Meseguer

Murcia

MURCIA

Hematology

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

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

Hematology

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

Hospital Universitario De Burgos

Burgos

BURGOS

Hematology

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

Hospital Universitario De Canarias

San Cristobal De La Laguna

STA. CRUZ DE TENERIFE

Hematology

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

Hospital Universitario De Salamanca

Salamanca

SALAMANCA

Hematology

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

Hospital Universitario La Paz

Madrid

MADRID

Hematology

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

University Hospital Son Espases

Palma

BALEARES

Hematology

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

University Hospital Virgen Del Rocio S.L.

Sevilla

SEVILLA

Hematology

Medication

Rilzabrutinib
TABLET
ORAL USE

-

Active Principles: N/A

Orphan **Experimental**

No results