

Resumen de los resultados del ensayo clínico

Un estudio para analizar si gantenerumab era seguro para su uso a largo plazo en personas con enfermedad de Alzheimer (Open RoAD)

Consulte el final del resumen para conocer el título completo del estudio.

Acerca de este resumen

Contenido del resumen

1. Información general acerca de este estudio
2. ¿Quién participó en este estudio?
3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?
4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?
5. ¿Cuáles fueron las posibles reacciones adversas?
6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?
7. ¿Se prevé la realización de otros estudios?
8. ¿Dónde puedo buscar más información?

Este es un resumen de los resultados de un ensayo clínico (denominado “estudio” en este documento) que se redactó para:

- los miembros del público y
- las personas que participaron en el estudio (participantes).

El estudio Open RoAD comenzó en mayo de 2020. Se interrumpió a principios de enero de 2023 porque el medicamento en estudio no funcionó tan bien como se esperaba en otros dos estudios (llamados estudios GRADUATE I y GRADUATE II) que analizaban el mismo medicamento en personas con enfermedad de Alzheimer temprana.

Este resumen del estudio se redactó después de que se interrumpió el estudio y representa los resultados a ese momento, los cuales se analizaron en su totalidad.

Un solo estudio no puede decirnos todo sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se requiere que participen muchas personas en muchos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los observados en otros estudios con el mismo medicamento.

Esto significa que no debe tomar decisiones con base en este resumen únicamente; siempre hable con su médico antes de tomar decisiones sobre su tratamiento.

Glosario

- Proteína amiloide: un tipo de proteína que se encuentra en mayores cantidades en el cerebro de personas con enfermedad de Alzheimer. Estas proteínas pueden unirse para formar placas (o “placas amiloides”) que pueden dañar el cerebro.
- ARIA-E (imagen relacionada con el amiloide): acumulación de líquido o hinchazón en el cerebro que se observa en una exploración cerebral, puede ocurrir con o sin síntomas.
- ARIA-H: hemorragia en el cerebro que se observa en una exploración cerebral, puede ocurrir con o sin síntomas.
- Acompañante cuidador: familiar, amigo o ayudante remunerado que cuida de forma regular a alguien con una condición.
- Enfermedad de Alzheimer temprana: deterioro cognitivo leve o demencia leve debido a la enfermedad de Alzheimer.
- Deterioro cognitivo leve: cuando las personas tienen pequeños cambios en la memoria, el pensamiento y en la resolución de problemas, pero estos aún no afectan sus actividades diarias de forma significativa.
- Demencia leve debido a la enfermedad de Alzheimer: estadio de la enfermedad en la que las

personas aún pueden funcionar de forma independiente, pero tienen cambios significativos en la memoria, el pensamiento y en la resolución de problemas que afectan sus actividades diarias.

- Estudio de etiqueta abierta: un estudio en el que tanto los investigadores como los participantes conocen el tratamiento que recibe una persona.
- Acompañante del estudio: alguien directamente involucrado en ayudar a una persona con una condición a participar en un estudio clínico (esta función puede realizarla un familiar o un amigo).

Les agradecemos a las personas que han participado en este estudio

Las personas que participaron en este estudio, sus familias y acompañantes ayudaron a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la enfermedad de Alzheimer y sobre el medicamento experimental estudiado, el gantenerumab, como, por ejemplo, si el tratamiento a largo plazo con el gantenerumab es seguro para las personas que viven con la enfermedad de Alzheimer. Dado que el estudio se interrumpió de manera temprana, la información obtenida a partir del mismo es limitada.

Información clave sobre este estudio

- Por medio del estudio (conocido como estudio Open RoAD) se investigó un nuevo medicamento, llamado gantenerumab, en personas con enfermedad de Alzheimer que antes habían completado, aproximadamente, 5 años de tratamiento con gantenerumab en los estudios SCarlet RoAD o Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta.
- El estudio Open RoAD se realizó para ver si el medicamento del estudio, gantenerumab, era seguro para las personas con la enfermedad de Alzheimer durante un período más largo de 4 años más, como máximo.
- El estudio Open RoAD se interrumpió antes de tiempo porque los principales hallazgos en otros dos estudios donde se analizó el gantenerumab (estudios GRADUATE I y GRADUATE II) demostraron que no era eficaz (es poco probable que ayude a las personas con una enfermedad de Alzheimer en estadio temprano).
- Un total de 116 personas de 17 países que completaron los estudios SCarlet RoAD o Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta ingresaron al estudio Open RoAD.
- De las 116 personas que ingresaron al estudio, 115 recibieron, al menos, una dosis de gantenerumab.
- De estos 115 participantes, 21 (18,3 %) experimentaron, al menos, una posible reacción adversa y no se reportaron posibles reacciones adversas serias. La mayoría de las posibles reacciones adversas se toleraron bien (es decir, tenían una gravedad de leve a moderada) y los tipos de posibles reacciones adversas que experimentaron las personas fueron similares a los observados en estudios anteriores con el gantenerumab.

1. Información general acerca de este estudio

¿Por qué se realizó este estudio?

En los estudios, se demostró que las personas con enfermedad de Alzheimer tienen niveles anormales altos de proteína amiloide, la cual se acumula para formar pequeños grupos (oligómeros) y cúmulos (placas amiloides) en el cerebro.

La enfermedad de Alzheimer progresa por estadios, pero cada persona la vive de manera diferente. Los síntomas progresan desde un deterioro cognitivo leve por enfermedad de Alzheimer en fase

temprana, hasta una demencia que afecta de forma grave la vida diaria en los últimos estadios de la enfermedad.

Los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta se realizaron para probar si las personas con enfermedad de Alzheimer en estadio temprano toleraban bien el gantenerumab cuando se administró durante, aproximadamente, 5 años.

El estudio Open RoAD se realizó para probar si el gantenerumab se toleraba bien cuando se seguía administrando a personas con enfermedad de Alzheimer que habían finalizado los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta durante 4 años más. El estudio se interrumpió de forma anticipada cuando se habían recopilado datos de, aproximadamente, 1,5 años.

¿Cuál era el medicamento del estudio?

El medicamento, llamado “gantenerumab”, se probó en el estudio Open RoAD.

- El gantenerumab es un tipo de anticuerpo monoclonal, lo que significa que es un tipo de medicamento que ayuda al sistema inmunitario a reconocer y eliminar específicamente la proteína amiloide dañina que se relaciona con la enfermedad de Alzheimer.
- Se administró a las personas mediante inyección en el hogar o en un centro del estudio.

¿Qué querían averiguar los investigadores?

- Los investigadores realizaron este estudio para recopilar información sobre la seguridad del uso a largo plazo del gantenerumab en personas con enfermedad de Alzheimer verificando cuántas de ellas tuvieron posibles reacciones adversas.

Las principales preguntas que médicos de la investigación querían responder eran:

- ¿Cuáles son las posibles reacciones adversas del gantenerumab cuando se administra a personas con enfermedad de Alzheimer durante 4 años más, como máximo, después de finalizar su participación en los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta?

¿Qué tipo de estudio fue este estudio?

Este fue un estudio de “fase 3”. Esto significa que el gantenerumab se había probado en un número menor de personas con enfermedad de Alzheimer antes del inicio de este estudio.

En este estudio, estaba previsto que las personas que habían participado previamente en los estudios SCarlet RoAD o Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta siguieran recibiendo el gantenerumab para investigar las posibles reacciones adversas del gantenerumab tras su uso a largo plazo en personas con enfermedad de Alzheimer.

Se trató de un estudio de “etiqueta abierta”. Esto significa que tanto las personas que participaron en el estudio como los médicos del estudio sabían que todos los participantes recibían el gantenerumab.

Se trató de un “estudio de transferencia”. Esto significa que solo a los participantes relacionados con un estudio anterior, principalmente, los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta, se les ofreció la oportunidad de participar en este estudio una vez finalizados los estudios anteriores.

¿Cuándo y dónde se realizó el estudio?

El estudio Open RoAD comenzó en mayo de 2020 y se interrumpió de forma anticipada, dado que el gantenerumab no funcionó tan bien como se esperaba en los otros dos estudios (llamados estudios GRADUATE I y GRADUATE II) en los que se analizaba el gantenerumab en personas con enfermedad de Alzheimer en estadio temprano. En este resumen, se presentan los resultados del estudio hasta su interrupción en enero de 2023.

Este estudio se realizó en 60 centros del estudio en 18 países de Asia, Australia, Europa, América del Norte y América del Sur.

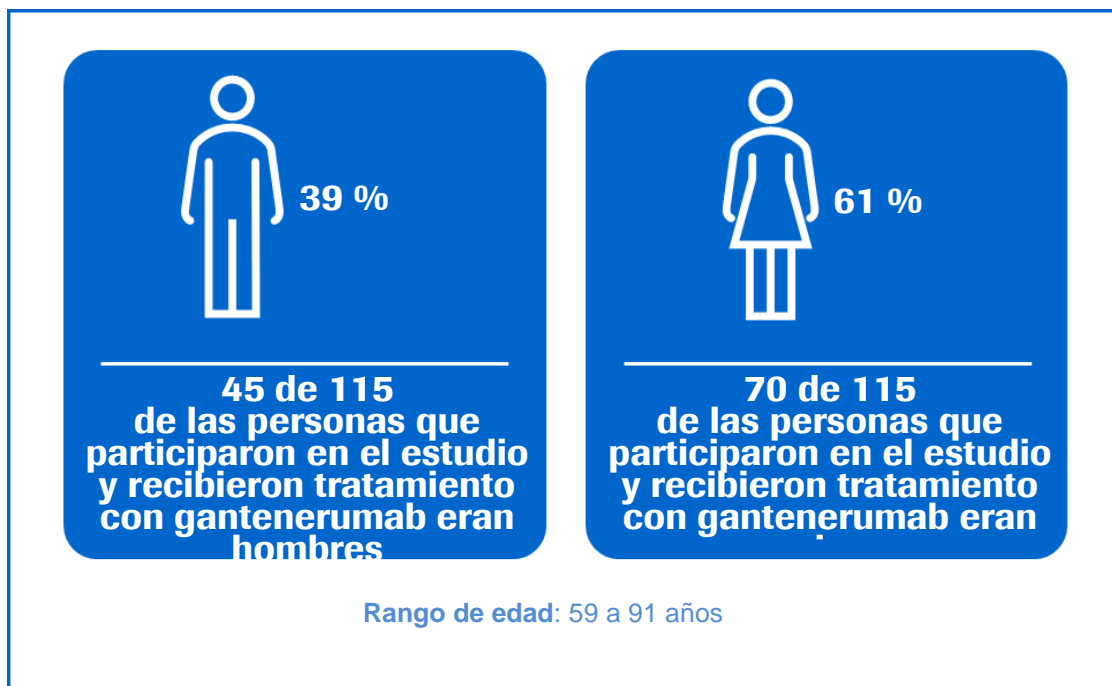
En el siguiente mapa, se muestran los países en los que se realizó este estudio. Los países fueron los siguientes:



- Argentina
- Australia
- Canadá
- Chile
- Dinamarca
- Alemania
- Italia
- Japón
- República de Corea
- México
- Países Bajos
- Polonia
- Rusia
- España
- Suiza
- Turquía
- Estados Unidos

2. ¿Quién participó en este estudio?

Un total de 115 adultos con enfermedad de Alzheimer participaron en el estudio Open RoAD y recibieron gantenerumab durante el estudio.



Las personas podían participar en el estudio si:

- habían finalizado los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta;
- estaban en contacto frecuente con un acompañante especializado del estudio que podía brindar información sobre el progreso de la persona.

Las personas no podían participar en el estudio si:

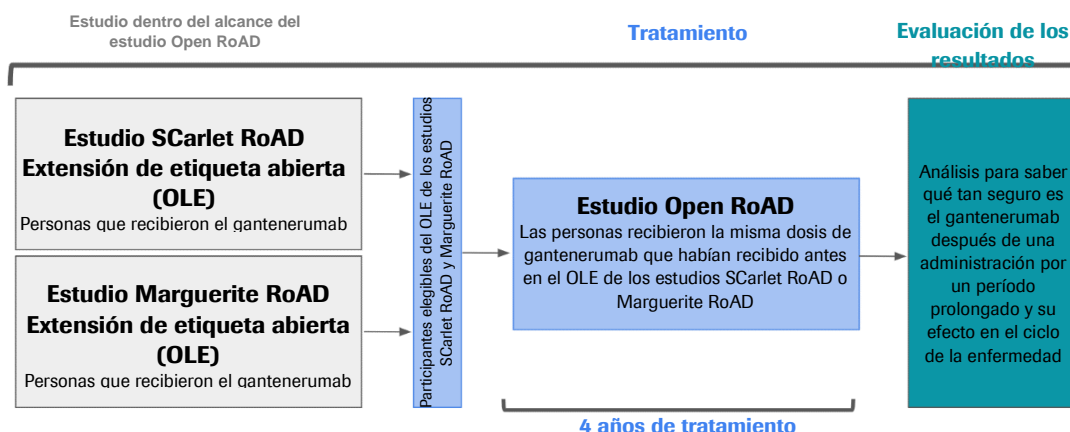
- habían abandonado los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD antes de que finalizara la parte original o la parte de extensión de etiqueta abierta del estudio;
- habían tenido otras enfermedades causadas por una función anormal de su cerebro; o
- habían tenido otras enfermedades como cáncer, así como enfermedades cardíacas, hepáticas, del sistema inmunitario y metabólicas que aún no estaban bien controladas.

3. ¿Qué ocurrió durante el estudio?

El estudio Open RoAD estaba destinado a todas las personas con enfermedad de Alzheimer que finalizaron los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta para continuar con la toma del gantenerumab durante 4 años más, como máximo.

Debido a que el estudio se interrumpió de forma anticipada, las personas solo recibieron el gantenerumab durante un máximo de 1,5 años después de finalizar los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta. Las personas en el estudio realizaron una visita de seguimiento 4 semanas después de recibir su última dosis de gantenerumab.

Diseño del estudio para el estudio Open RoAD



4. ¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Pregunta: ¿Cuáles son las posibles reacciones adversas del gantenerumab cuando se administra a personas con enfermedad de Alzheimer durante 4 años más, como máximo, después de finalizar su participación en los estudios SCarlet RoAD y Marguerite RoAD de extensión de etiqueta abierta?

Mediante el estudio Open RoAD, se investigó la seguridad del gantenerumab registrando el número de posibles reacciones adversas y, en particular, el número de posibles reacciones adversas serias que tuvieron las personas durante el estudio.

- En el estudio, se demostró que el gantenerumab se toleró bien.
- El gantenerumab se administró en forma de inyección intradérmica y algunas personas reportaron reacciones en el sitio de la inyección, como enrojecimiento, erupción cutánea o hinchazón.
- Todos los tipos de posibles reacciones adversas que se reportaron durante este estudio fueron similares a las reportadas en otros estudios de gantenerumab (por ejemplo, cefalea y caídas).

Consulte la siguiente sección (Sección 5) para obtener detalles completos de las posibles reacciones adversas que tuvieron las personas durante el estudio Open RoAD.

5. ¿Cuáles fueron las posibles reacciones adversas?

Las posibles reacciones adversas son problemas médicos (como mareos) que ocurrieron durante el estudio.

- Se describen en este resumen porque el médico del estudio consideró que las posibles reacciones adversas estaban relacionadas con los tratamientos del estudio.
- No todas las personas en este estudio presentaron todas las posibles reacciones adversas.
- Las posibles reacciones adversas pueden ser de gravedad leve a muy seria y pueden ser diferentes en cada persona.
- Es importante tener en cuenta que las posibles reacciones adversas que se reportan aquí provienen de este único estudio. Por lo tanto, las posibles reacciones adversas que se reportan aquí pueden ser diferentes de las observadas en otros estudios.
- Las posibles reacciones adversas serias y frecuentes se enumeran en las siguientes secciones.

En general, 21 de 115 personas (18,3 %) que recibieron el gantenerumab en Open RoAD experimentaron, al menos, una posible reacción adversa. En total, se reportaron 217 posibles reacciones adversas.

La mayoría de las posibles reacciones adversas fueron leves o moderadas, lo que significa que fueron fáciles de tratar, de ser necesario, y que las personas se recuperaron rápidamente.

Posibles reacciones adversas serias

Una posible reacción adversa se considera “seria” si es potencialmente mortal, requiere atención hospitalaria u ocasiona problemas crónicos.

Durante el estudio Open RoAD, no se reportaron posibles reacciones adversas serias (que los médicos del estudio consideraron relacionadas con el tratamiento del estudio).

Un total de 2 personas murieron durante el período de recopilación de datos del estudio. Los médicos del estudio consideraron que ninguna de las muertes ocurridas fue causada por el tratamiento con el gantenerumab.

Durante el estudio, un total de 3 de 115 personas (5,1 %) dejaron de tomar el gantenerumab, pero esto no se relacionó con las posibles reacciones adversas.

Posibles reacciones adversas

La mayoría de las posibles reacciones adversas fueron leves o moderadas, lo que significa que fueron fáciles de tratar, de ser necesario, y que las personas se recuperaron rápidamente.

Las reacciones adversas al tratamiento con gantenerumab incluyen reacciones en el sitio de la inyección y anomalías en las imágenes relacionadas con el amiloide (ARIA, por sus siglas en inglés).

Una reacción en el sitio de la inyección es una reacción en donde se inyecta un medicamento debajo de la piel y puede incluir enrojecimiento, erupción cutánea o hinchazón. Un total de 20 de 115 (17,4 %) personas en el estudio Open RoAD experimentaron reacciones en el sitio de la inyección.

Las anomalías en las imágenes relacionadas con el amiloide (ARIA) son hallazgos en el cerebro durante las exploraciones por imágenes de resonancia magnética (IRM) que, algunas veces, experimentan personas que reciben el gantenerumab y medicamentos similares. Esto puede ocurrir con y sin presencia de síntomas.

Existen dos tipos de ARIA: 1) ARIA-E, que implica una acumulación transitoria de líquido en el cerebro y 2) ARIA-H, que es una pequeña hemorragia en o sobre la superficie del cerebro.

Ninguno de los 115 participantes en el estudio Open RoAD experimentó una posible reacción adversa de tipo ARIA-E o ARIA-H.

Otras posibles reacciones adversas

Se puede buscar información sobre otras posibles reacciones adversas (que no se muestran en las secciones anteriores) en los sitios web que se enumeran al final de este resumen. Consulte la Sección 8.

6. ¿Cómo ha ayudado este estudio a la investigación?

Si bien el estudio Open RoAD se interrumpió de forma anticipada, dado que el gantenerumab no funcionó tan bien como se esperaba en GRADUATE I y GRADUATE II, en este estudio, se demostró que la toma del gantenerumab cada 4 semanas durante un período prolongado se toleró bien.

Un solo estudio no puede decirnos todo sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se requiere que participen muchas personas en muchos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los resultados de otros estudios con el mismo medicamento.

- **Esto significa que no debe tomar decisiones con base en este resumen únicamente; siempre hable con su médico antes de tomar decisiones sobre su tratamiento.**

7. ¿Se prevé la realización de otros estudios?

A la fecha, no se considera realizar otros estudios con gantenerumab.

8. ¿Dónde puedo buscar más información?

Puede buscar más información sobre este estudio en los sitios web que se enumeran a continuación:

¿Con quién puedo comunicarme si tengo preguntas sobre este estudio?

Si tiene más preguntas después de leer este resumen:

- Visite la plataforma ForPatients y complete el formulario de contacto: <https://forpatients.roche.com/en/trials/neurodegenerative-disorder/ad/a-study-to-evaluate-the-safety-and-tolerability-of-long-88018.html>
-
- Comuníquese con un representante de la oficina local de Roche.

Si participó en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- ▶ Hable con el médico de la investigación o el personal del hospital o de la clínica del estudio.

Si tiene preguntas sobre su propio tratamiento:

- ▶ Hable con el médico responsable de su tratamiento.

¿Quién organiza y financia este estudio?

Este estudio fue organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd, que tiene su sede en Basilea, Suiza.

Título completo del estudio y otra información de identificación

El título completo de este estudio es el siguiente: “Estudio para evaluar la seguridad y la tolerabilidad de la administración de gantenerumab a largo plazo a participantes con enfermedad de Alzheimer”.

El estudio se conoce como “Open RoAD”.

- ▶ El número de protocolo para este estudio es el siguiente: WN41874.
- ▶ El identificador de ClinicalTrials.gov para este estudio es el siguiente: NCT04339413.
- ▶ El número de EudraCT para este estudio es el siguiente: 2019-004431-23.

Si participó en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- ▶ Hable con el médico de la investigación o el personal del hospital o de la clínica del estudio.

Si tiene preguntas sobre su propio tratamiento:

- ▶ Hable con el médico responsable de su tratamiento.

¿Quién organiza y financia este estudio?

Este estudio fue organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd, que tiene su sede en Basilea, Suiza.

Título completo del estudio y otra información de identificación

El título completo de este estudio es el siguiente: “Estudio para evaluar la seguridad y la tolerabilidad de la administración de gantenerumab a largo plazo a participantes con enfermedad de Alzheimer”.

El estudio se conoce como “Open RoAD”.

- ▶ El número de protocolo para este estudio es el siguiente: WN41874.
- ▶ El identificador de ClinicalTrials.gov para este estudio es el siguiente: NCT04339413.
- ▶ El número de EudraCT para este estudio es el siguiente: 2019-004431-23.