

# ForPatients

by Roche

Esclerosis múltiple recurrente

## Un estudio para ver cómo se procesa el fenebrutinib en el cuerpo, qué tan bien funciona para prevenir los signos de la esclerosis múltiple recurrente, y qué tan seguro es en niños y adolescentes con esclerosis múltiple recurrente

A Pharmacokinetics (PK), Pharmacodynamics (PD), Safety and Tolerability Study of Fenebrutinib in Children and Adolescents With Relapsing Multiple Sclerosis (RMS)

**Trial Status**  
Reclutando

**Trial Runs In**  
7 Countries

**Trial Identifier**  
NCT07161258 2024-519800-28-00  
RENIS IS004949 CN45847

La información se obtuvo directamente de sitios web de registros públicos, como ClinicalTrials.gov, EuClinicalTrials.eu, ISRCTN.com, etc., y no se ha editado.

### Official Title:

An Open-label, Single-arm Study to Evaluate Pharmacokinetics, Pharmacodynamic Effects, Safety and Tolerability of Fenebrutinib in Children and Adolescents With Relapsing Multiple Sclerosis

### Trial Summary:

This open label, single arm study will evaluate the PK and PD effects of fenebrutinib in children and adolescents with RMS aged between 10 and < 18 years. This study consists of a Dose Exploration Period and an Optional Extension Period. Eligible participants may choose to continue treatment with fenebrutinib in the optional extension period after completing the dose exploration period.

**Hoffmann-La Roche**  
Sponsor

**Phase 2**  
Phase

**NCT07161258 2024-519800-28-00 RENIS IS004949 CN45847**  
Trial Identifiers

### Eligibility Criteria:

**Gender**  
All

**Age**  
#10 Years & # 17 Years

**Healthy Volunteers**  
No

### 1. ¿Por qué es necesario este estudio?

# ForPatients

*by Roche*

La esclerosis múltiple (EM) es una enfermedad en la que las defensas naturales del organismo (el sistema inmunitario) atacan el revestimiento que protege las fibras nerviosas del cerebro y la médula espinal. Esto conlleva problemas de comunicación entre el cerebro y el resto del cuerpo. En la esclerosis múltiple recurrente (EMR), los signos o síntomas de la EM reaparecen después de haber mejorado durante un tiempo. Esto se conoce como “recaída” (o brote). Esto puede causar deterioro físico y discapacidad, y la pérdida gradual de funciones cerebrales como pensar, recordar y razonar hasta el punto de interferir con las actividades diarias. Se necesitan nuevos fármacos que ayuden a prevenir el empeoramiento de la enfermedad.

En este estudio se está probando un medicamento llamado fenebrutinib, que puedes pronunciar como “Fene-bru-ti-nib” se está desarrollando para tratar la EMR. Fenebrutinib es un medicamento experimental. Esto significa que las autoridades sanitarias (como la Administración de Medicamentos y Alimentos de los Estados Unidos y la Agencia Europea de Medicamentos) no han aprobado el fenebrutinib para el tratamiento de la EMR.

Este estudio tiene como objetivo comprender lo que le ocurre al fenebrutinib una vez dentro del cuerpo, ver qué tan bien funciona para prevenir los signos de EMR en el cerebro y evaluar su seguridad (en diferentes dosis), en niños y adolescentes. Este estudio ayudará a determinar la dosis correcta de fenebrutinib que se debe utilizar en niños y adolescentes con EM en posibles estudios futuros.

## **2. ¿Quién puede participar en el estudio?**

Los niños y adolescentes de 10 a 17 años con EMR pueden participar en el estudio si se les han administrado todas las vacunas infantiles recomendadas. Pueden tener una puntuación de la Escala ampliada del estado de discapacidad (EDSS) entre 0 y 5,5. La EDSS mide los cambios en el nivel de discapacidad de una persona a lo largo del tiempo. Las personas con una puntuación en la escala EDSS de 5,5 o menos pueden caminar 100 metros sin utilizar ayudas para caminar ni necesidad de descansar.

Los niños y adolescentes que participen en el estudio también deben haber tenido uno o más de los siguientes:

- 2 brotes/recaídas en los últimos 2 años, O
- 1 brote/recaída en el último año, O
- 1 área de inflamación en el cerebro, conocida como “lesión activa”, visible en una resonancia magnética nuclear (RMN), en los últimos 6 meses

Es posible que los niños y adolescentes no puedan participar en este estudio si tienen un tipo de EM llamada “EM primaria progresiva” o “EM secundaria progresiva no activa”. No pueden participar las personas que hayan recibido determinados tratamientos anteriormente, como fenebrutinib o medicamentos similares, o determinadas infecciones, antecedentes de cáncer u otras enfermedades, incluida una enfermedad cerebral o de la

médula espinal. No pueden participar en el estudio mujeres que estén embarazadas o en período de lactancia.

### **3. ¿En qué consiste este estudio?**

Los niños y adolescentes se someterán a una selección para comprobar si pueden participar en el estudio. El período de selección tendrá lugar 1 mes antes del inicio del tratamiento.

A todas las personas que se incorporen a este estudio se les administrará fenebrutinib en comprimidos (por vía oral) todos los días. Después de 3 meses de tratamiento, el médico del estudio y el participante decidirán juntos si continuar en la siguiente parte del estudio, lo que se conoce como «extensión opcional». La parte de extensión opcional del estudio dura casi 2 años.

Se trata de un estudio abierto. Esto significa que todas las personas implicadas, incluidos el participante y el médico del estudio, sabrán cuál es el tratamiento del estudio que se ha administrado al participante.

Durante los primeros 3 meses del estudio, el médico del estudio verá a los participantes cada 2 semanas. Comprobará si hay algún efecto no deseado que los participantes puedan tener. Los participantes que continúen tomando fenebrutinib en la parte de extensión opcional del estudio acudirán al médico del estudio cada 2 semanas durante los primeros 2 meses, a continuación, de nuevo 1 mes después y, posteriormente, cada 3 meses durante el resto del estudio. Si los participantes dejan de tomar fenebrutinib por cualquier motivo durante cualquier parte del estudio, tendrán una visita de seguimiento 1 mes después de su última dosis del tratamiento del estudio. Durante esta visita, el médico del estudio comprobará el bienestar del participante. El tiempo total de participación en el estudio será de aproximadamente 3 meses, y hasta aproximadamente 2 años si continúan en el estudio durante la extensión opcional. Los participantes tienen derecho a suspender el tratamiento del estudio y a abandonar el estudio en cualquier momento, si así lo desean.

### **4. ¿Cuáles son los principales resultados que se miden en este estudio?**

Los principales resultados medidos en el estudio son:

- Cómo llega el fenebrutinib a las diferentes partes del cuerpo y cómo se elimina
- El número total de nuevas lesiones observadas en las resonancias magnéticas (RM) cerebrales después de 3 meses de iniciar el tratamiento del estudio

Otros resultados clave que se medirán en este estudio son:

- Número y gravedad de los efectos no deseados

## 5. ¿Existen riesgos o beneficios por participar en este estudio?

Participar en el estudio puede hacer que los pacientes se sientan mejor o no. Sin embargo, la información recogida en el estudio puede ayudar a otros niños y adolescentes con enfermedades similares en el futuro.

Es posible que al momento de realizar del estudio no se conozca totalmente en qué medida es seguro y cómo funciona el tratamiento del estudio. El estudio implica algunos riesgos para el participante. No obstante, estos riesgos no suelen ser generalmente mayores que los relacionados con la atención médica habitual o la evolución natural de la enfermedad. Se informará a los niños y adolescentes que, junto con sus tutores o cuidadores adultos, estén interesados en participar en el estudio sobre los riesgos y beneficios, así como cualquier procedimiento o prueba adicional a la que deban someterse. Todos los detalles del estudio se recogerán en un documento de consentimiento informado. En este se incluye información sobre los posibles efectos y otras opciones de tratamiento.

**Riesgos asociados al fenebrutinib** Los participantes pueden sufrir efectos no deseados derivados del medicamento utilizado en este estudio. Estos efectos no deseados pueden ser de leves a graves, incluso potencialmente mortales, y variar de una persona a otra. Durante este estudio, los participantes se someterán a revisiones de salud periódicas para comprobar si se producen efectos no deseados.

Se informará a los participantes de los efectos no deseados conocidos de fenebrutinib, y de los posibles efectos no deseados basados en estudios en seres humanos y de laboratorio o en el conocimiento de medicamentos similares. Los efectos no deseados conocidos incluyen niveles sanguíneos más altos de lo habitual de proteínas hepáticas (llamadas “ALT” y “AST”), lo que podría indicar un posible daño hepático.

El medicamento del estudio podría ser perjudicial para un bebé en gestación. Todas las participantes que puedan tener (o llegar a tener) capacidad de concebir deben tomar precauciones para evitar exponer a un bebé en gestación al tratamiento del estudio.

### ***Inclusion Criteria:***

- A diagnosis of RMS in accordance with the International Pediatric Multiple Sclerosis Study Group (IPMSSG) criteria for pediatric MS, Version 2012, and the revised 2017 McDonald Criteria and one or more of the following: at least one MS relapse during the previous year or two MS relapses in the previous 2 years or evidence of at least one Gd enhancing lesion on MRI within 6 month
- Expanded Disability Status Scale (EDSS) at screening from 0 to 5.5 points, inclusive
- Children and adolescents must have received all childhood vaccinations as per local/national recommendations for childhood vaccination against infectious diseases

### ***Exclusion Criteria:***

# ForPatients

*by Roche*

- A diagnosis of primary progressive multiple sclerosis (PPMS) or non-active secondary progressive multiple sclerosis (SPMS)
- Co-morbid Conditions:
- Potentially confounding neurological, somatic, or metabolic disorders
- Current clinically significant psychiatric or medical illness
- History of cancer, transplants, or bleeding disorders
- Inability to complete an MRI scan or get gadolinium
- Abnormal liver function tests or blood counts
- Peripheral venous access that precludes venous blood sampling as required per study protocol
- Sensitivity or intolerance to any ingredient (including excipients) of fenebrutinib tablets
- Active, recurrent, or chronic infections
- Recent or anticipated use of prohibited medications/treatments:
- Certain disease-modifying therapy (DMT) and other immunosuppressants
- Drugs interacting with fenebrutinib (Cytochrome P450 3A4 [CYP3A4] inhibitors)
- Any other investigational therapy, anticoagulants, certain vaccines