

Resultados del estudio clínico

Este resumen informa de los resultados de un único estudio. Los investigadores deben examinar los resultados de muchos tipos de estudios para comprender si un medicamento en estudio funciona, cómo funciona y si es seguro recetarlos a los pacientes. Los resultados de este estudio podrían ser diferentes de los de otros estudios que los investigadores revisen.

Promotor: Pfizer Inc.

Medicamento(s) estudiado(s): PF-06823859 (dazukibart)

Número de protocolo: C0251008

Fechas del estudio: 20 de diciembre de 2021 a 20 de noviembre de 2023

Título de este estudio: Estudio para investigar la seguridad de PF-06823859 administrado a participantes adultos con dermatomiositis activa
[Estudio sin enmascaramiento de extensión a largo plazo para investigar la seguridad de PF-06823859 administrado a participantes adultos ≥ 18 y ≤ 80 con dermatomiositis activa]

Fecha(s) de este informe: 04 de agosto de 2024

– Gracias –

Si usted participó en este estudio, Pfizer, el promotor, le agradece su participación.

Este resumen describe los resultados del estudio. Si tiene alguna pregunta sobre el estudio o los resultados, póngase en contacto con el médico o el personal del centro al que acudió para participar en el estudio.

¿Por qué se ha realizado este estudio?

¿Qué es la dermatomiositis (DM)?

La dermatomiositis es una enfermedad rara que causa debilidad muscular y/o inflamación y erupciones cutáneas. Los síntomas pueden incluir una erupción cutánea roja alrededor de los párpados, protuberancias rojas alrededor de las articulaciones y debilidad muscular en brazos y piernas. Se trata de un tipo de miopatía, que es un término general que se refiere a enfermedades que afectan a los músculos.

¿Qué es el dazukibart (PF-06823859)?

El fármaco del estudio, dazukibart, es un medicamento en investigación. Actualmente las autoridades sanitarias no han autorizado su uso en los países en los que se realizó este estudio. Se administra mediante infusión en una vena. El dazukibart se dirige a una proteína de señalización del sistema inmunitario. Una proteína de señalización le indica a las células del organismo cómo responder, por ejemplo, al combatir infecciones. En una enfermedad como la DM, la proteína de señalización se encuentra en niveles elevados. Se cree que bloquear esta proteína de señalización podría ayudar a tratar la DM, por lo que los investigadores lo han estado estudiando como un posible tratamiento para la DM. En el futuro es posible que también se estudie para el tratamiento de afecciones diferentes o relacionadas.

¿Cuál era la finalidad de este estudio?

La finalidad principal de este estudio era determinar cómo de seguro y tolerable es el dazukibart cuando se utiliza durante mucho tiempo. En este estudio, el dazukibart se administró a participantes que habían tomado este fármaco en estudio en un estudio anterior (C0251002).

Los investigadores querían saber:

¿Cómo de seguro y tolerable es el dazukibart cuando se toma a largo plazo?

¿Los participantes que tomaron dazukibart a largo plazo tuvieron cambios no deseados en alguno de los siguientes aspectos?

- **Constantes vitales**
- **Pruebas de laboratorio**
- **Prueba de electrocardiograma (ECG). El ECG es una prueba que examina el funcionamiento del corazón.**

¿Qué sucedió durante el estudio?

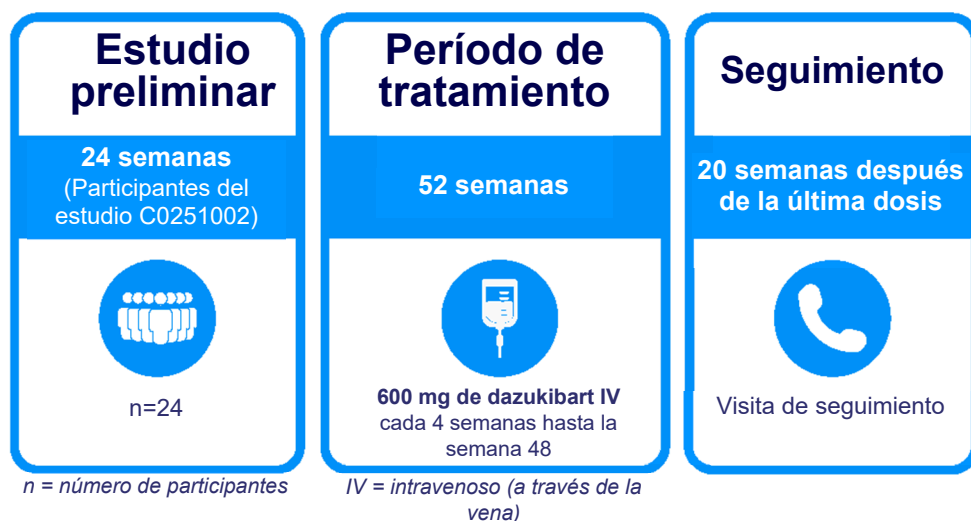
¿Cómo se realizó el estudio?

Los investigadores probaron el dazukibart en un grupo de participantes del estudio que tenían DM y que participaron en un estudio anterior (C0251002) para averiguar si los participantes del estudio que tomaban dazukibart a largo plazo tenían problemas médicos no deseados.

Este estudio fue «sin enmascaramiento», lo que significa que los investigadores y los participantes del estudio sabían lo que estaban tomando los participantes.

Los participantes se «cribaron» para asegurarse de que eran aptos para participar en este estudio. A todos los participantes aptos (participantes que estuvieron en el estudio C0251002) se les administraron 600 mg de dazukibart por vía intravenosa (a través de la vena) cada 4 semanas hasta 52 semanas durante el período de tratamiento. Durante el período de seguimiento, a todos los participantes se les realizó un seguimiento durante 16 semanas después del período de tratamiento, como se muestra en la figura 1. Los participantes que abandonaron el tratamiento también pasaron al período de seguimiento.

Se comprobaron las constantes vitales (presión arterial, frecuencia cardíaca, pulso y temperatura) de los participantes cada 4 semanas. Se realizaron pruebas de ECG y extracciones de sangre cada 12 semanas. En cada visita, los investigadores preguntaron a los participantes cómo se sentían.



¿Dónde se realizó este estudio?

El promotor realizó este estudio en 15 ubicaciones de 4 países (Estados Unidos, Hungría, Polonia y España).

¿Cuándo se realizó este estudio?

Comenzó el 20 de diciembre de 2021 y terminó el 20 de noviembre de 2023.

¿Quién participó en este estudio?

El estudio incluyó a participantes que tenían entre 22 y 66 años de edad, presentaban DM de moderada a grave y finalizaron el estudio C0251002.

- Participaron un total de 4 hombres.
- Participaron un total de 20 mujeres.
- Todos los participantes tenían entre 22 y 66 años.

A los participantes se les iba a tratar durante 48 semanas y tenían la última evaluación en la semana 52. De los 24 participantes que pasaron a la fase de tratamiento, 21 la finalizaron.

De los 3 participantes que no finalizaron la fase de tratamiento, 1 participante abandonó porque el medicamento no estaba funcionando bien y 2 participantes se retiraron por decisión propia.

De los 22 participantes que pasaron a la fase de seguimiento, 1 participante abandonó por decisión propia.

¿Cuánto tiempo duró el estudio?

Los participantes del estudio permanecieron en él 68 semanas. El estudio completo duró 23 meses aproximadamente.

Cuando el estudio terminó en noviembre de 2023, el promotor comenzó a revisar la información recabada. A continuación, el promotor elaboró un informe de los resultados. Este es un resumen de ese informe.

¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

¿Los participantes que tomaron dazukibart durante mucho tiempo tuvieron cambios no deseados en las constantes vitales, las pruebas de laboratorio o el ECG?

¿Cuántos participantes tuvieron cambios en las constantes vitales (frecuencia cardíaca, pulso y presión arterial) que fuesen importantes desde el punto de vista médico?

Ningún participante tuvo cambios en las constantes vitales que fuesen clínicamente significativos. Un participante presentó un aumento de presión arterial y un participante tuvo presión arterial baja. Ninguno de los dos acontecimientos fue clínicamente significativo ni estuvo relacionado con el tratamiento.

¿Cuántos participantes tuvieron valores en las pruebas de laboratorio que fuesen clínicamente significativos?

Durante el período de tratamiento, se notificaron un total de 5 valores de laboratorio anómalos. Un participante tuvo una reducción del potasio en sangre, 1 participante tuvo proteína en la orina, 1 participante tuvo un recuento bajo de glóbulos rojos, 1 participante tuvo un nivel bajo de sodio en sangre y 1 participante tuvo una reducción de la tasa de filtración glomerular estimada (TFGe), lo que significa que hubo una disminución en la forma en que los riñones filtraban los productos de desecho. Ninguna de las anomalías de laboratorio se consideró relacionada con el fármaco del estudio, y su gravedad fue de leve a moderada.

Basándose en estos resultados, los investigadores han decidido que el dazukibart en general era seguro y se toleraba bien.

¿Cuántos participantes tuvieron datos del ECG que fuesen clínicamente significativos?

Ningún participante tuvo cambios en el ECG que fuesen clínicamente significativos.

Esto no significa que todos los participantes en este estudio hayan obtenido estos resultados. Este es un resumen de tan solo algunos de los resultados principales de este estudio. Otros estudios pueden tener resultados diferentes.

¿Qué problemas médicos tuvieron los participantes durante el estudio?

Los investigadores registraron todos los problemas médicos que los participantes tuvieron durante el estudio. Los participantes podrían haber tenido problemas médicos por motivos no relacionados con el estudio (por ejemplo, causados por una enfermedad subyacente o por casualidad). O bien los problemas médicos también podrían haber sido causados por un tratamiento del estudio o por otro medicamento que el participante estuviera tomando. A veces se desconoce la causa de un problema médico. Al comparar los problemas médicos de muchos grupos de tratamiento en muchos estudios, los médicos intentan comprender cuáles son los efectos que un medicamento en estudio puede tener en un participante.

Veinte de 24 (83,3 %) participantes en este estudio tuvieron al menos 1 problema médico en algún momento durante las 68 semanas del estudio. Ningún participante abandonó el estudio por problemas médicos. Los problemas médicos más comunes, es decir, aquellos comunicados por más del 5 % de los participantes, se describen a continuación.

A continuación se encuentran las instrucciones para interpretar la tabla 1.

Instrucciones para entender la tabla 1.

- En la 1.^a columna de la tabla 1 se enumeran los problemas médicos que se comunicaron habitualmente durante el estudio. Se indican todos los problemas médicos notificados por más del 5 % de los participantes.
- En la 2.^a columna se muestra cuántos de los 24 participantes que tomaban la medicación en estudio notificaron cada uno de los problemas médicos. Al lado de este número se indica el porcentaje de los 24 participantes que tomaron el medicamento del estudio que comunicó el problema médico.
- Con estas instrucciones, podrá ver que 2 de los 24 (8,3 %) participantes que tomaron el medicamento del estudio tuvieron un recuento bajo de glóbulos rojos.

Tabla 1. Problemas médicos notificados por más del 5 % de los participantes del estudio

Problema médico	Dazukibart (24 participantes)
Recuento bajo de glóbulos rojos	2 de 24 participantes (8,3 %)
Dolor de estómago	2 de 24 participantes (8,3 %)

Tabla 1. Problemas médicos notificados por más del 5 % de los participantes del estudio

Problema médico	Dazukibart (24 participantes)
Infección que afecta a las vías respiratorias mayores (bronquitis)	2 de 24 participantes (8,3 %)
COVID-19	6 de 24 participantes (25,0 %)
Hinchazón de los tejidos de los senos nasales (sinusitis)	2 de 24 participantes (8,3 %)
Infecciones del aparato respiratorio superior	2 de 24 participantes (8,3 %)
Infección del aparato urinario	3 de 24 participantes (12,5 %)
Dolor de espalda	2 de 24 participantes (8,3 %)
Dolor en brazos o piernas	2 de 24 participantes (8,3 %)
Dolor de cabeza	2 de 24 participantes (8,3 %)
Tos	2 de 24 participantes (8,3 %)
Ronchas/protuberancias rojas con picor en la piel (urticaria)	2 de 24 participantes (8,3 %)

¿Tuvieron los participantes del estudio algún problema médico grave?

Se considera que un problema médico es «grave» cuando pone en peligro la vida, requiere atención hospitalaria o causa problemas duraderos.

Tres participantes (12,5 %) tuvieron problemas médicos graves.

1 participante tuvo cálculos biliares, 1 participante tuvo niveles altos de azúcar y de cetonas (sustancias químicas que se liberan cuando el cuerpo descompone la grasa) en sangre y 1 participante tuvo una fractura en la extremidad inferior. Ningún participante tuvo infecciones por herpes zóster (culebrilla).

Ningún participante murió durante el estudio.

¿Dónde puedo ampliar mi información sobre este estudio?

Si tiene preguntas sobre los resultados de su estudio, hable con el médico o el personal del centro al que acudió para participar en el estudio.

Para obtener más información sobre el protocolo del estudio, visite:

www.pfizer.com/research/research_clinical_trials/trial_results Utilice el número de protocolo C0251008

El informe científico completo de este estudio está disponible en línea en:

www.clinicaltrials.gov Utilice el identificador del estudio **NCT05192200**

www.clinicaltrialsregister.eu Utilice el identificador del estudio 2021-004787-10

Recuerde que los investigadores examinan los resultados de muchos estudios para averiguar qué medicamentos pueden funcionar y son seguros para los pacientes.

Si ha participado en este estudio, **le agradecemos** una vez más su ofrecimiento como voluntario/a. Investigamos para tratar de encontrar las mejores formas de ayudar a los



pacientes, ¡y usted nos ha ayudado a
hacerlo!