

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 resultados de otros estudios que los investigadores revisen.

Promotor: Pfizer Inc.

Medicamento estudiado: Reciferecept (PF-07256472)

Número de protocolo: C4181005

Fechas del estudio: Del 2 de diciembre de 2020 al 27 de marzo de 2023

Título de este estudio: Estudio para conocer la seguridad de reciferecept y su eficacia en niños con acondroplasia

[Estudio en fase II con dosis múltiples y aleatorizado para evaluar la seguridad, la tolerabilidad, la farmacocinética y la eficacia de reciferecept en niños con acondroplasia]

Fecha de este informe: 30 de noviembre de 2023

– Gracias –



Si usted o su hijo/a participaron en este estudio, Pfizer, el promotor, les agradece su participación.

Este resumen describe los resultados del estudio. Si usted o su hijo/a 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 acondroplasia?

La acondroplasia es un trastorno genético poco frecuente que causa problemas en el crecimiento de los huesos y las articulaciones de los niños.

Las personas con acondroplasia pueden tener brazos y piernas cortos y otras complicaciones óseas. La acondroplasia es el tipo más común de trastorno óseo observado en niños.

¿Qué es recifercept?

Recifercept es un medicamento inyectable que se ha probado en este estudio para tratar la acondroplasia. El uso de recifercept en este estudio está en fase de investigación, lo que significa que no está aprobado para el tratamiento de la acondroplasia.

Recifercept está diseñado para ayudar a estimular el crecimiento de los niños con acondroplasia.

¿Con qué objetivo se hizo este estudio?

El objetivo de este estudio era saber si recifercept era seguro y si puede ayudar a aumentar el crecimiento en niños de 3 meses a 11 años con acondroplasia.

Los investigadores querían saber:

- ¿Aumentó recifercept el crecimiento de los participantes?
 - ¿Qué problemas médicos tuvieron los participantes durante el estudio?
-

¿Qué sucedió durante el estudio?

¿Cómo se realizó el estudio?

Los investigadores probaron 3 niveles de dosis de recifercept en un grupo de participantes con edades comprendidas entre los 3 meses y los 10 años (inclusive).

En este estudio, los participantes se distribuyeron en 2 grupos de edad:

- de 3 meses a 2 años
- de 2 a 10 años (inclusive)

Los participantes fueron asignados por azar a recibir 1 de las 3 dosis:





- Dosis baja: 1 mg/kg una vez a la semana
- Dosis intermedia: 2 mg/kg dos veces por semana
- Dosis alta: 1,5 mg/kg una vez al día

Este fue un estudio «sin enmascaramiento»; lo que significa que los niños o sus padres/cuidadores y los investigadores conocían el tratamiento que se estaba administrando.

Los niños de este estudio recibieron al menos 1 dosis de recifercept en inyección subcutánea (SC) administrada bajo la piel durante 12 meses. La dosis de recifercept administrada se calculó en función del peso del niño.

Los participantes de los grupos de mayor edad empezaron con una dosis baja. Si esa dosis no causaba problemas médicos, los grupos de edad más jóvenes recibían dosis más altas hasta que se produjese algún problema médico.

En la figura 1 a continuación, se muestra lo que sucedió durante el estudio.

Selección	Tratamiento	Seguimiento
 <p>Participaron en el estudio niños con acondroplasia de edades comprendidas entre los 3 meses y los 10 años. Se dividieron en 2 grupos de edad:</p> <ul style="list-style-type: none"> • de 3 meses a 2 años • de 2 a 10 años (inclusive) 	 <p>Los participantes fueron asignados al azar para recibir 1 de las 3 dosis:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Dosis baja: 1 mg/kg una vez a la semana • Dosis intermedia: 2 mg/kg dos veces por semana • Dosis alta: 1,5 mg/kg una vez al día  <p>Los participantes de los grupos de mayor edad empezaron con una dosis baja. Si esa dosis no causaba problemas médicos, los grupos de edad más jóvenes recibían dosis más altas hasta que se produjese algún problema.</p>	 <p>28 a 35 días después de la última dosis</p> <p>Los médicos o el equipo del estudio llamaron a los padres/cuidadores de los participantes para preguntarles cómo se sentían y qué medicación tomaban.</p>

A lo largo del estudio, los médicos supervisaron la seguridad de los participantes.

¿Dónde se realizó este estudio?

El estudio se realizó en 11 centros de 8 países.

¿Cuándo se realizó este estudio?

El estudio comenzó el 2 de diciembre de 2020 y finalizó el 27 de marzo de 2023.

¿Quién participó en este estudio?

En el estudio participaron niños de 3 meses a 10 años con acondroplasia.

En total, iniciaron el estudio 58 participantes y 57 recibieron al menos una dosis de recifercept durante el periodo de tratamiento. De los 57 niños:

- 33 eran niños y 24 eran niñas.
- Todos tenían entre 1 y 10 años.

En total, 36 finalizaron el periodo de tratamiento. Un total de 21 participantes no terminaron el periodo de tratamiento.

- 1 participante abandonó el estudio antes de su finalización por decisión de sus padres/cuidadores
- 20 participantes no terminaron el estudio porque el promotor decidió interrumpirlo.

¿Cuánto duró el estudio?

Los participantes del estudio permanecieron en él durante unos 12 meses. El estudio completo duró unos 27 meses.

El promotor decidió finalizar el estudio antes de lo previsto, en noviembre de 2022. Esto se debió a que los resultados no mostraron el aumento en el crecimiento deseado en comparación con el observado en niños que no habían recibido ningún tratamiento para la acondroplasia de otro estudio. El estudio no finalizó anticipadamente debido a problemas de seguridad con recifercept.

Cuando el estudio terminó en marzo 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?

¿Aumentó recifercept el crecimiento de los participantes?

Los investigadores midieron los cambios de estatura de los niños antes y después de recibir recifercept. Este cambio en la estatura se denomina crecimiento. Los investigadores compararon el cambio de estatura con los niños que no habían recibido ningún tratamiento para la acondroplasia de otro estudio.

Los resultados del estudio no mostraron que el aumento del crecimiento de los participantes tras recibir cualquiera de las dosis de recifercept (dosis baja, dosis intermedia y dosis alta) fuera mayor que el crecimiento esperado en niños de otro estudio que no habían recibido ningún tratamiento para la acondroplasia.

Esto no significa que todos los participantes en este estudio hayan obtenido estos resultados, pero refleja la respuesta media. 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 preexistente 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. Mediante la comparación de 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.

En total, 57 de los 52 participantes (91 %) en este estudio tuvieron al menos 1 problema médico.

- 17 de 20 participantes (85 %) en el grupo de dosis baja de recifercept.
- Los 19 participantes (100 %) del grupo de dosis intermedia de recifercept.
- 16 de 18 participantes (89 %) en el grupo de dosis alta de recifercept.

Las reacciones en el lugar de la inyección fueron los problemas médicos más frecuentes de especial interés. Fueron de gravedad leve.

Ningún participante abandonó el estudio debido a un problema médico padecido durante el estudio.

A continuación, figuran 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 comúnmente durante el estudio. Se indican todos los problemas médicos padecidos por 3 o más participantes de cualquier grupo.
- En la **2.^a** columna se muestra cuántos de los 20 participantes que recibieron una dosis baja de recifercept tuvieron cada uno de los problemas médicos. Al lado de este número se indica el porcentaje de los 20 participantes que tuvieron el problema médico.
- En la **3.^a** columna se muestra cuántos de los 19 participantes que recibieron la dosis intermedia de recifercept tuvieron cada uno de los problemas médicos. Al lado de este número se indica el porcentaje de los 19 participantes que tuvieron el problema médico.
- En la **4.^a** columna se muestra cuántos de los 18 participantes que recibieron la dosis alta de recifercept tuvieron cada uno

de los problemas médicos. Al lado de este número se indica el porcentaje de los 18 participantes que tuvieron el problema médico.

- Usando estas instrucciones, se puede ver que:
 - 3 de los 20 participantes (15 %) que tomaban la dosis baja de recifercept notificaron tener COVID-19.
 - 7 de los 19 participantes (37 %) que tomaban la dosis intermedia de recifercept notificaron tener COVID-19.
 - 4 de los 18 participantes (22 %) que tomaban la dosis alta de recifercept notificaron tener COVID-19.

Los problemas médicos más comunes, es decir, aquellos observados en 3 o más participantes de cualquier grupo, se describen en la Tabla 1 incluida a continuación.

Tabla 1. Problemas médicos referidos comúnmente (notificados por 3 o más participantes de cualquier grupo)

Problema médico	1 mg/kg de recifercept (20 participant es)	2 mg/kg de recifercept (19 participant es)	1,5 mg/kg de recifercept (18 participan tes)
Dolor en las articulaciones	3 de 20 participantes (15 %)	1 de 19 participantes (5 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Fósforo elevado en sangre	0 de 20 participantes (0 %)	3 de 19 participantes (16 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Tos	2 de 20 participantes (10 %)	3 de 19 participantes (16 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Infección de oído	3 de 20 participantes (15 %)	2 de 19 participantes (11 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Dolor de oídos	1 de 20 participantes (5 %)	2 de 19 participantes (11 %)	3 de 18 participantes (17 %)
Hematoma	1 de 20 participantes (5 %)	3 de 19 participantes (16 %)	0 de 18 participantes (0 %)
Enrojecimiento en el lugar de la inyección	4 de 20 participantes (20 %)	5 de 19 participantes (26 %)	4 de 18 participantes (22 %)

Tabla 1. Problemas médicos referidos comúnmente (notificados por 3 o más participantes de cualquier grupo)

Problema médico	1 mg/kg de recifercept (20 participant es)	2 mg/kg de recifercept (19 participant es)	1,5 mg/kg de recifercept (18 participan tes)
Picor en el lugar de la inyección	3 de 20 participantes (15 %)	3 de 19 participantes (16 %)	2 de 18 participantes (11 %)
Erupción en el lugar de la inyección	4 de 20 participantes (20 %)	4 de 19 participantes (21 %)	2 de 18 participantes (11 %)
Reacción en el lugar de la inyección	0 de 20 participantes (0 %)	3 de 19 participantes (16 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Infección de nariz y garganta	5 de 20 participantes (25 %)	5 de 19 participantes (26 %)	2 de 18 participantes (11 %)
Infección del oído medio	3 de 20 participantes (15 %)	1 de 19 participantes (5 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Dolor en extremidades	1 de 20 participantes (5 %)	3 de 19 participantes (16 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Fiebre	1 de 20 participantes (5 %)	3 de 19 participantes (16 %)	4 de 18 participantes (22 %)
COVID-19	3 de 20 participantes (15 %)	7 de 19 participantes (37 %)	4 de 18 participantes (22 %)

Tabla 1. Problemas médicos referidos comúnmente (notificados por 3 o más participantes de cualquier grupo)

Problema médico	1 mg/kg de recifercept (20 participant es)	2 mg/kg de recifercept (19 participant es)	1,5 mg/kg de recifercept (18 participan tes)
Irritación e inflamación de las vías respiratorias superiores	3 de 20 participantes (15 %)	3 de 19 participantes (16 %)	1 de 18 participantes (6 %)
Vómitos	3 de 20 participantes (15 %)	2 de 19 participantes (11 %)	1 de 18 participantes (6 %)

¿Tuvo algún participante 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.

De los 57 participantes, 1 participante (5 %) que recibió 1 mg/kg de recifercept presentó un problema médico grave. Este participante tenía un ritmo cardíaco lento que se resolvió mientras continuaba con la administración de recifercept. Los investigadores no creyeron que este grave problema médico estuviera relacionado con la medicación del estudio.

Ningún participante murió durante el estudio.



¿Dónde puedo ampliar mi información sobre este estudio?

Si usted o su hijo tiene preguntas sobre los resultados de este 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

C14181005

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

www.clinicaltrials.gov

Utilice el identificador del

estudio **NCT04638153**

www.clinicaltrialsregister.eu

Utilice el identificador del estudio

2020-001189-13

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



Si usted y su hijo/a han participado en este estudio, les **agradecemos** una vez más su ofrecimiento como voluntarios. Investigamos para tratar de encontrar las mejores formas de ayudar a los pacientes, ¡y usted nos ha ayudado a hacerlo!