

RESUMEN DE LOS RESULTADOS DEL ESTUDIO CLÍNICO EN LENGUAJE SENCILLO



Promotor del estudio: Kite, una empresa de Gilead

Número de protocolo de Kite: KTE-C19-104

Fecha del estudio: Febrero de 2016 a marzo de 2026

Título del estudio en lenguaje sencillo: Estudio de KTE-X19 en niños y adolescentes con leucemia linfoblástica aguda de precursores de linfocitos B o linfoma no Hodgkin de linfocitos B

Sobrenombre del estudio: ZUMA-4

Fecha de este resumen en lenguaje sencillo: Septiembre de 2026

La información contenida en este resumen no incluye ninguna información disponible después de esta fecha.

Gracias

Gracias a los participantes que contribuyeron al estudio clínico de **KTE-X19**, también conocido como **brexucabtagén autoleucel**. Además, gracias a las familias y cuidadores de los participantes.



Kite, una empresa de Gilead, fue el promotor de este estudio. Este resumen está preparado para los participantes del estudio y para el público en general.

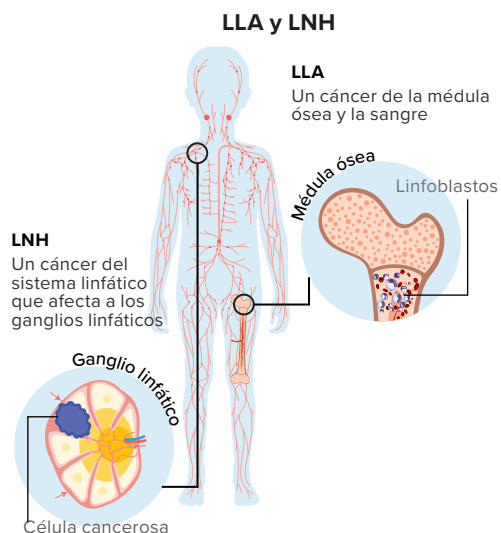
Si participó en este estudio y tiene preguntas sobre los resultados, diríjase al médico o a un miembro del personal del centro del estudio.

Hable siempre con un médico o profesional sanitario antes de hacer cambios en el tratamiento.

i

Información general sobre el estudio

¿Qué son la leucemia linfoblástica aguda de precursores de linfocitos B y el linfoma no Hodgkin de linfocitos B?



La **leucemia linfoblástica aguda de precursores de linfocitos B (LLA de precursores B)** es un cáncer de la sangre que comienza en la médula ósea, el tejido blando del interior de los huesos que produce las células sanguíneas. En la LLA de precursores B, el organismo produce demasiados linfocitos B jóvenes anormales (linfoblastos), que no funcionan correctamente.

El **linfoma no Hodgkin de linfocitos B (LNH de linfocitos B)** es un grupo de cánceres de la sangre que afectan a los linfocitos B maduros. Estos linfocitos B anómalos pueden multiplicarse de forma descontrolada y formar masas en los ganglios linfáticos u otras partes del cuerpo. Los ganglios linfáticos son pequeñas estructuras que ayudan al organismo a combatir las infecciones.

Tanto la LLA como el LNH pueden afectar a personas de cualquier edad. Sin embargo, la LLA de precursores B es más frecuente en niños y jóvenes. En ambas enfermedades, las células cancerosas pueden reemplazar a las células sanguíneas sanas y causar síntomas como fiebre, cansancio, infecciones frecuentes, moratones o sangrados e inflamación de los ganglios linfáticos.

Los médicos utilizan la **quimioterapia** (medicamentos para matar las células cancerosas) para tratar estos tipos de cáncer, pero a veces el cáncer reaparece —lo que se denomina enfermedad recidivante (r)— o no responde al tratamiento —lo que se denomina enfermedad resistente (r)—.

¿Qué es KTE-X19?

KTE-X19, también llamado brexucabtagén autoleucel (brexu-cel), es un tipo de **terapia con linfocitos T CAR**. Se trata de un tratamiento aprobado para adultos con LLA de precursores B y linfoma de células del manto, un tipo de LNH de linfocitos B. En este estudio se investigó si brexu-cel podría ayudar a niños, adolescentes y adultos jóvenes con LLA de precursores B recidivante o resistente (r/r) o LNH de linfocitos B r/r.



La **terapia con linfocitos T CAR** es una forma de tratamiento contra el cáncer que utiliza las propias células inmunitarias del paciente. **CAR** significa **receptor de antígeno quimérico** en inglés, una proteína especial producida en un laboratorio. Para preparar brexu-cel, los linfocitos T (un tipo de glóbulos blancos que ayudan a combatir las infecciones) se extraen de la sangre del paciente a través de un proceso llamado **leucaféresis**. A continuación, estas células se modifican en el laboratorio para que expresen la proteína CAR. Una vez preparadas, las células modificadas (llamadas linfocitos T CAR, brexu-cel) se infunden de nuevo en el torrente sanguíneo del paciente mediante una inyección intravenosa, donde actúan para identificar y destruir las células cancerosas.



¿Cuál era el objetivo del estudio?

El objetivo de este estudio era determinar una dosis adecuada de brexu-cel y evaluar su seguridad y eficacia en niños, adolescentes y adultos jóvenes con LLA r/r o LNH r/r.

Las principales preguntas que los investigadores querían responder en este estudio fueron:

- ¿Cuántos participantes presentaron **toxicidad limitante de la dosis (TLD)** con una dosis mayor de brexu-cel?
- ¿Cuántos participantes respondieron al tratamiento con brexu-cel?

Los investigadores también querían saber si los participantes tenían **efectos secundarios** durante el estudio.



Una **TLD** es un acontecimiento médico lo suficientemente grave para impedir que el médico del estudio aumente la dosis de brexu-cel del participante. Se hace de este modo para encontrar una dosis segura del fármaco.



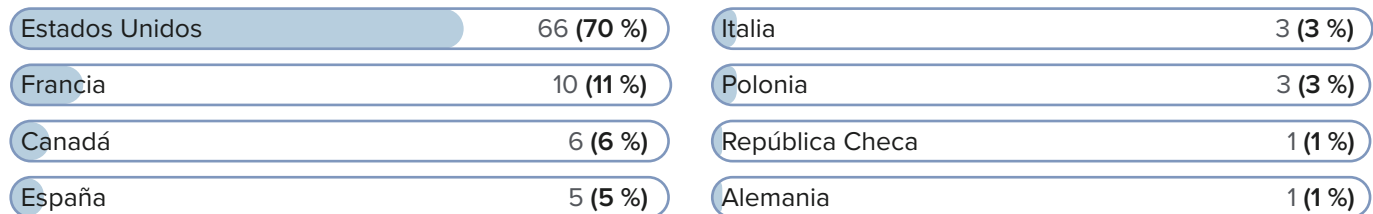
¿Quiénes participaron en el estudio?

En este estudio participaron un total de **95** niños, adolescentes y adultos jóvenes. De ellos, **79** tenían LLA r/r y **16** tenían LNH r/r.

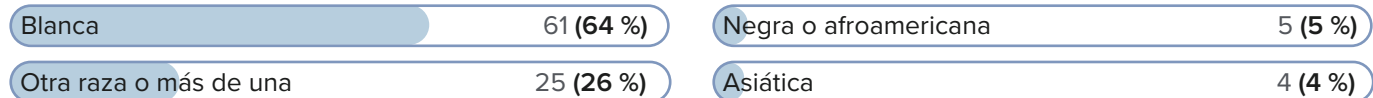
Las personas podían participar en el estudio si:



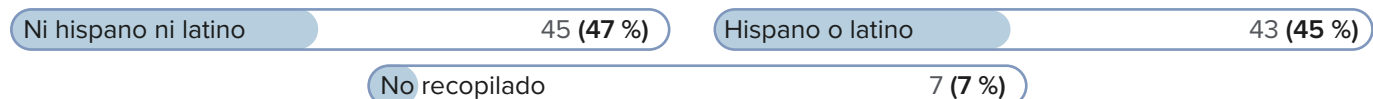
Los participantes de cada país se muestran a continuación (número [%] de participantes).



A continuación, se muestra la raza de los participantes (número [%] de participantes).



A continuación, se muestra el origen étnico de los participantes (número [%] de participantes).



A continuación, se muestra la edad de los participantes (número [%] de participantes).



A continuación, se muestra el sexo de los participantes (número [%] de participantes).



? ¿Qué ocurrió durante el estudio?

Antes de que las personas pudieran incorporarse al estudio, los investigadores realizaron pruebas para ver si cumplían los requisitos. También hicieron análisis de sangre, análisis de médula ósea y exploraciones por imagen para ver hasta qué punto se había extendido el cáncer.

Este fue un estudio **abierto** y **de un solo grupo**.



Abierto significa que el participante, los médicos y el personal del estudio sabían que los participantes estaban recibiendo brexu-cel. **De un solo grupo** significa que todos los participantes recibieron el mismo fármaco, brexu-cel.

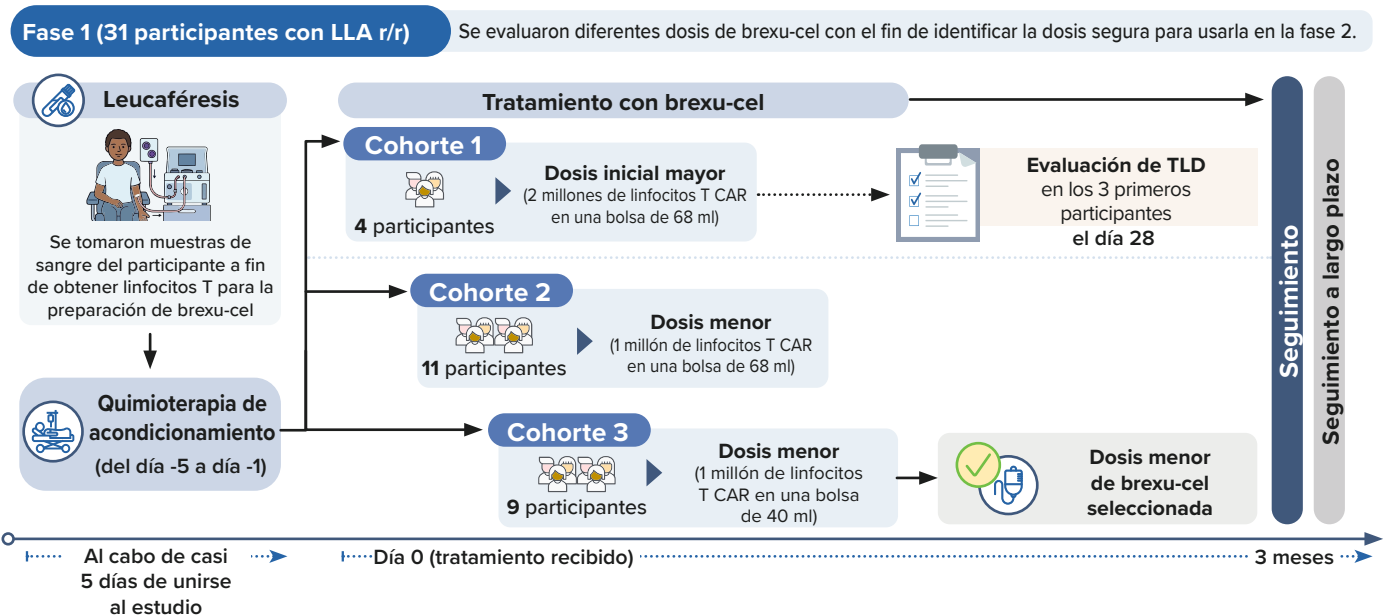
Al inicio del estudio, se realizó la leucaféresis a 95 participantes. De ellos, 81 recibieron **quimioterapia de acondicionamiento** y tratamiento con brexu-cel. La **quimioterapia de acondicionamiento** reduce los linfocitos y contribuye a crear espacio para que los linfocitos T CAR proliferen y actúen de forma eficaz. Los participantes recibieron esta terapia durante 3 días con el fin de preparar el cuerpo para el tratamiento. Todos los participantes recibieron una dosis única de brexu-cel por kilogramo (kg) de peso corporal, mediante una inyección intravenosa lenta.

El estudio tenía 2 partes: la **fase 1** y la **fase 2**. En la fase 1 se incluyó a 31 participantes con LLA r/r. En la fase 2 se incluyó a 64 participantes: 48 con LLA r/r y 16 con LNH r/r.

En la **fase 1**, los investigadores evaluaron diferentes dosis de brexu-cel en 3 cohortes pequeñas de participantes con LLA r/r. **Una cohorte** es un grupo de participantes que recibieron la misma dosis de brexu-cel. Los investigadores evaluaron por primera vez una dosis mayor y supervisaron a los participantes para detectar TLD. A continuación, evaluaron una dosis menor en otras 2 cohortes con el fin de identificar una dosis segura para usarla en la fase 2.

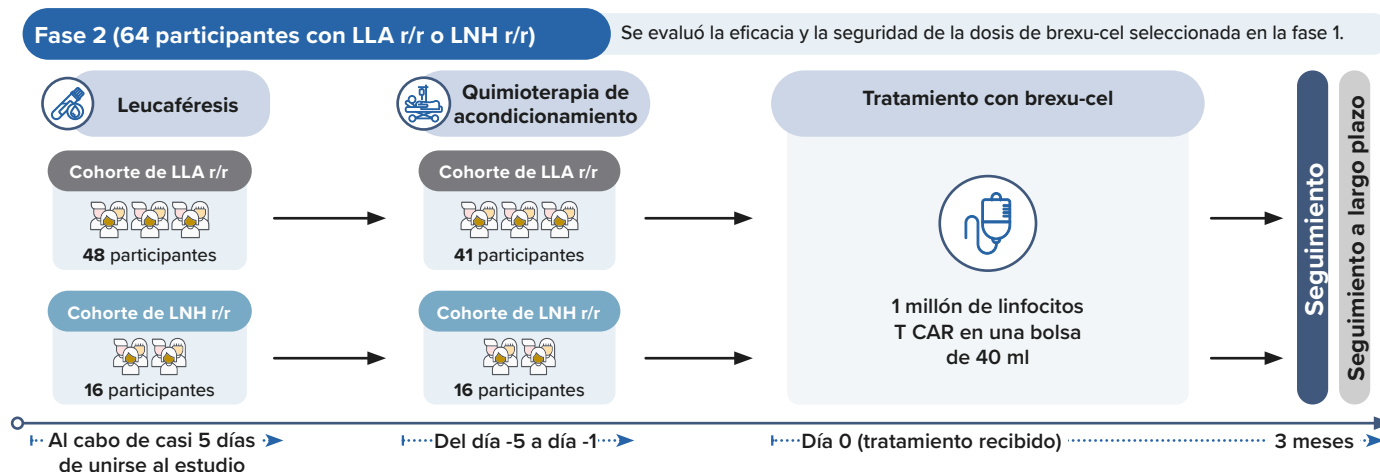
- **Cohorte 1:** 5 participantes se sometieron a leucaféresis y 4 recibieron quimioterapia de acondicionamiento y brexu-cel a una dosis de **2 millones de linfocitos T CAR por kilogramo en una bolsa de 68 ml**.
- **Cohorte 2:** 13 participantes se sometieron a leucaféresis y 11 recibieron quimioterapia de acondicionamiento y brexu-cel a una dosis de **1 millón de linfocitos T CAR por kilogramo en una bolsa de 68 ml**.
- **Cohorte 3:** 13 participantes se sometieron a leucaféresis y 9 recibieron quimioterapia de acondicionamiento y brexu-cel a una dosis de **1 millón de linfocitos T CAR por kilogramo en una bolsa de 40 ml**.

El siguiente gráfico muestra el plan de tratamiento de la fase 1 del estudio:



En la **fase 2**, los investigadores evaluaron la seguridad y la eficacia de la dosis seleccionada de brexu-cel (**1 millón de linfocitos T CAR por kilogramo en una bolsa de 40 ml**) en 2 cohortes adicionales que incluyeron a 64 participantes con **LLA r/r o LNH r/r**.

El siguiente gráfico muestra el plan de tratamiento de la fase 2 del estudio:



Seguimiento: Los participantes recibieron brexu-cel en el hospital y permanecieron ingresados entre 7 y 10 días para su supervisión. Tras abandonar el hospital, acudieron a las visitas de seguimiento 14 días, 28 días, 8 semanas y 3 meses después del tratamiento.

Seguimiento a largo plazo: Todos los participantes pasaron a un estudio de seguimiento a largo plazo independiente (estudio KT-US-982-5968; número de NCT: NCT05041309; número EU CT: 2023-507041-28), con el fin de poder seguir supervisando la seguridad durante un total de 15 años.

El estudio finalizó según lo previsto. Sin embargo, el reclutamiento de participantes adicionales con LLA r/r se detuvo durante la fase 2 del estudio, debido a problemas de seguridad, lo que dio lugar a un número de participantes con LLA r/r inferior al previsto inicialmente.

¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Este es un resumen de los principales resultados de este estudio. Los resultados específicos de cada participante podrían ser diferentes y no se indican en este resumen. Puede encontrar una presentación detallada de los resultados en los sitios web indicados al final de este resumen.

A continuación se presentan los resultados de los participantes que recibieron tratamiento con brexu-cel.

¿Cuántos participantes presentaron toxicidad limitante de la dosis (TLD) con una dosis mayor de brexu-cel?

Durante la fase 1, los investigadores supervisaron estrechamente a los 3 primeros participantes con LLA r/r de la cohorte 1 para detectar TLD. Una TLD es un efecto secundario relacionado con brexu-cel que se produjo en los primeros 28 días tras la administración del tratamiento a los participantes.

Ninguno de los participantes tuvo ninguna TLD después de recibir brexu-cel a una dosis de 2 millones de linfocitos T CAR por kilogramo de peso corporal.

El promotor evaluó una dosis menor de brexu-cel, que contenía 1 millón de linfocitos T CAR, y comprobó que era más segura para los participantes en la fase 2.

¿Cuántos participantes respondieron al tratamiento con brexu-cel?

Los investigadores realizaron análisis de sangre, análisis de la médula ósea y exploraciones por imagen para comprobar si la dosis seleccionada de brexu-cel, esto es, de 1 millón de linfocitos T CAR, estaba resultando beneficiosa para los participantes en la fase 2. Los investigadores definieron la respuesta como una **remisión completa con o sin hemogramas normales**, o una **remisión parcial**.

La **remisión completa** significa que no se encontraron signos de cáncer después del tratamiento. La **remisión parcial** significa que hubo una disminución de la extensión o de la gravedad del cáncer después del tratamiento, pero sin que desapareciera por completo.

Los investigadores analizaron cuántos participantes con LLA r/r lograron la remisión completa y cuántos participantes con LNH r/r lograron la remisión completa o parcial.

Los gráficos que figuran a continuación muestran el número de participantes que respondieron al tratamiento con brexu-cel.



Más de la mitad de los participantes con LLA r/r lograron la remisión completa. En el caso de los participantes con LNH r/r, algunos tuvieron respuestas sólidas y duraderas, pero otros no respondieron bien y la enfermedad empeoró.

¿Qué efectos secundarios tuvieron los participantes durante el estudio?

Los participantes del estudio pueden sufrir acontecimientos médicos no deseados cuando toman el fármaco del estudio. En este resumen, los “**efectos secundarios**” se definen como problemas médicos no deseados que los médicos del estudio pensaron que podrían estar causados por el fármaco del estudio, brexu-cel.



Un efecto secundario se considera “**grave**” si:

- provoca la muerte
- es potencialmente mortal
- el médico del estudio considera que es importante desde el punto de vista médico
- causa problemas prolongados
- requiere atención hospitalaria
- causa un defecto congénito

Se suelen necesitar los resultados de varios estudios para poder decidir si un fármaco en fase de investigación provoca realmente un efecto secundario.

En la siguiente tabla se muestra el número de participantes que presentaron efectos secundarios durante el estudio.

Efectos secundarios generales					
	Fase 1 (participantes con LLA r/r)			Fase 2	
	Cohorte 1	Cohorte 2	Cohorte 3	Cohorte de LLA r/r	Cohorte de LNH r/r
	4 participantes	11 participantes	9 participantes	41 participantes	16 participantes
	Total				
	81 participantes				
	Número de participantes (%)				
¿Cuántos participantes tuvieron algún efecto secundario?	4 (100 %)	10 (91 %)	9 (100 %)	41 (100 %)	12 (75 %)
¿Cuántos participantes tuvieron algún efecto secundario grave?	4 (100 %)	6 (55 %)	4 (44 %)	28 (68 %)	7 (44 %)
	Total				
	49 (60 %)				

Un participante de la cohorte de LLA r/r de la fase 2 murió debido a una acumulación de líquido adicional en el cerebro que provocó su hinchazón (edema cerebral).

¿Cuáles fueron los efectos secundarios graves?

En la siguiente tabla se muestran los efectos secundarios graves que se produjeron en **al menos el 6 %** del total de participantes del estudio.

Efectos secundarios graves						
	Fase 1 (participantes con LLA r/r)			Fase 2		Total
	Cohorte 1	Cohorte 2	Cohorte 3	Cohorte de LLA r/r	Cohorte de LNH r/r	
	4 participantes	11 participantes	9 participantes	41 participantes	16 participantes	
	Número de participantes (%)					
Fiebre (pirexia)	1 (25 %)	4 (36 %)	4 (44 %)	9 (22 %)	2 (13 %)	20 (25 %)
Presión arterial baja (hipotensión)	3 (75 %)	5 (45 %)	2 (22 %)	9 (22 %)	0	19 (23 %)
Frecuencia cardíaca rápida (taquicardia)	0	2 (18 %)	4 (44 %)	4 (10 %)	0	10 (12 %)
Una afección en la que una persona se siente confusa y menos alerta o consciente de lo habitual (estado de confusión)	0	3 (27 %)	0	3 (7 %)	2 (13 %)	8 (10 %)
Una afección cerebral que afecta gravemente a la forma en que una persona piensa y actúa (encefalopatía)	1 (25 %)	1 (9 %)	2 (22 %)	3 (7 %)	1 (6 %)	8 (10 %)
Dolor de cabeza	0	2 (18 %)	2 (22 %)	2 (5 %)	1 (6 %)	7 (9 %)
Una afección en la que no llega suficiente oxígeno a los tejidos del cuerpo (hipoxia)	1 (25 %)	0	0	5 (12 %)	1 (6 %)	7 (9 %)
Una afección que dificulta que una persona hable, entienda a otros, lea o escriba, debido a daños en el cerebro (afasia)	0	2 (18 %)	0	3 (7 %)	1 (6 %)	6 (7 %)
Cambio repentino en el funcionamiento del cerebro que puede provocar temblores, rigidez, movimientos inusuales o cambios en el estado de conciencia (convulsión)	1 (25 %)	0	0	4 (10 %)	1 (6 %)	6 (7 %)
Acumulación de líquido adicional en el cerebro que provoca su hinchazón (edema cerebral)	0	1 (9 %)	0	4 (10 %)	0	5 (6 %)
Fiebre con un número bajo de glóbulos blancos llamados neutrófilos (neutropenia febril)	0	1 (9 %)	0	2 (5 %)	2 (13 %)	5 (6 %)

¿Cuáles fueron los efectos secundarios no graves?

En la siguiente tabla, se muestran los efectos secundarios no graves más frecuentes que se produjeron en **al menos el 30 %** del número total de participantes del estudio. Estos efectos secundarios no fueron graves y no se ajustaron a la definición de “efectos secundarios graves” mencionada en este resumen.

En la siguiente tabla se muestra el número de participantes que presentaron efectos secundarios no graves durante el estudio.

Efectos secundarios no graves						
	Fase 1 (participantes con LLA r/r)			Fase 2		Total 81 participantes
	Cohorte 1	Cohorte 2	Cohorte 3	Cohorte de LLA r/r	Cohorte de LNH r/r	
	4 participantes	11 participantes	9 participantes	41 participantes	16 participantes	
	Número de participantes (%)					
Fiebre (pirexia)	3 (75 %)	5 (45 %)	3 (33 %)	31 (76 %)	7 (44 %)	49 (60 %)
Dolor de cabeza	2 (50 %)	1 (9 %)	3 (33 %)	17 (41 %)	5 (31 %)	28 (35 %)
Número bajo de glóbulos rojos (anemia)	0	2 (18 %)	5 (56 %)	14 (34 %)	5 (31 %)	26 (32 %)
Presión arterial baja (hipotensión)	2 (50 %)	4 (36 %)	2 (22 %)	13 (32 %)	3 (19 %)	24 (30 %)

? ¿Cómo ha ayudado este estudio a los investigadores?

Los investigadores obtuvieron más información sobre la seguridad de brexu-cel y cómo actúa en niños, adolescentes y adultos jóvenes con LLA r/r o LNH r/r.

Son necesarios los resultados de varios estudios para ayudar a decidir qué tratamientos funcionan y cuáles son seguros. Este resumen muestra solamente los resultados principales de este estudio. Otros estudios pueden proporcionar nueva información o resultados diferentes.

Gilead Sciences no tiene previsto realizar más estudios clínicos con brexu-cel.

¿Dónde puedo obtener más información sobre este estudio?

Puede encontrar más información sobre este estudio en los sitios web que se indican a continuación.

Organización (página web)	Identificador del estudio
Agencia Europea de Medicamentos www.clinicaltrialsregister.eu	EU CTIS number: 2023-509440-97-00
Institutos Nacionales de Salud (NIH) de Estados Unidos www.clinicaltrials.gov	Número de ClinicalTrials.gov: NCT02625480
Página web de Gilead www.gileadclinicaltrials.com	KTE-C19-104

Tenga en cuenta que la información de estas páginas web puede presentarse de una forma diferente a este resumen.

Título completo del estudio: Estudio de fase 1/2 multicéntrico para evaluar la seguridad y eficacia de KTE-X19 en sujetos pediátricos y adolescentes con leucemia linfoblástica aguda de precursores de linfocitos B recidivante/refractaria o linfoma no Hodgkin de linfocitos B recidivante/refractario

Para obtener más información sobre los ensayos clínicos en general, visite esta [página](https://www.clinicaltrials.gov) en el sitio web www.clinicaltrials.gov.

Kite, una empresa de Gilead
2400 Broadway, Santa Mónica, CA 90404, EE. UU.
Correo electrónico: medinfo@kitepharma.com



Los participantes del estudio clínico forman parte de una gran comunidad de personas que participan en investigaciones clínicas en todo el mundo. Ellos ayudan a los investigadores a responder preguntas importantes sobre la salud y a encontrar tratamientos médicos para los pacientes.

