



SINTESI DEI RISULTATI DELLO STUDIO CLINICO IN UN LINGUAGGIO SEMPLICE

Sponsor dello studio: Kite, una società di Gilead

Numero di protocollo Kite: KT-US-568-0138-C

Data dello studio: da novembre 2022 a dicembre 2024 (lo studio è stato chiuso prima del previsto)

i

Titolo breve dello studio: Studio su brexucabtagene autoleucel (KTE-X19) in persone con linfoma di Burkitt recidivante/refrattario

Nome dello studio: ZUMA-25C

Data di questo riepilogo in linguaggio semplice: novembre 2025

Le informazioni contenute in questo riepilogo non includono alcuna informazione disponibile dopo tale data.

Grazie

Grazie ai partecipanti che hanno contribuito allo studio clinico su **brexucabtagene autoleucel (brexu-cel)**, noto anche come **KTE-X19**.



Questo studio è stato sponsorizzato da Kite, una società di Gilead. Riteniamo che sia importante condividere i risultati con i partecipanti allo studio e il pubblico generale.

Se ha partecipato allo studio e ha domande sui risultati, si rivolga a un medico o a un membro del personale presso il centro dello studio.

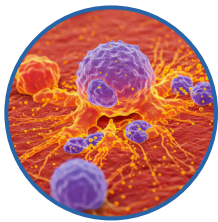
Parli sempre con un medico o un operatore sanitario prima di apportare qualsiasi modifica al trattamento.

Questo documento è un breve riepilogo di questo studio scritto per un pubblico generale. I collegamenti ai riepiloghi scientifici di questo studio sono riportati alla fine del presente documento.

i

Informazioni generali sullo studio

Cos'è il linfoma di Burkitt?



Il **linfoma di Burkitt (LB)** è un raro tipo di tumore del sangue a rapida crescita. Colpisce un tipo di globuli bianchi (GB) chiamati linfociti B, che aiutano a combattere le infezioni. Nel LB, queste cellule crescono troppo rapidamente e soppiantano quelle sane, rendendo più difficile per l'organismo combattere le malattie. I soggetti con LB possono sentirsi molto stanchi, ammalarsi più spesso e presentare sintomi come dolore addominale, febbre, gonfiore al collo, alle ascelle o all'inguine e perdita di peso.

Il LB colpisce principalmente bambini e adolescenti, ma si verifica anche negli adulti. Può svilupparsi a causa di un cambiamento in un gene chiamato MYC, che controlla il modo in cui le cellule crescono. È anche legato ad alcuni virus come il **virus di Epstein-Barr (EBV)** e il **virus dell'immunodeficienza umana (HIV)**. L'**EBV** è un virus comune che può causare una crescita anomala delle cellule B e l'**HIV** indebolisce il sistema immunitario, facilitando lo sviluppo di tumori come il LB.

La **chemioterapia** è il trattamento standard per le persone affette da LB. Si tratta di farmaci che aiutano a uccidere le cellule tumorali. Tuttavia, la chemioterapia potrebbe non funzionare per tutti o potrebbe non essere adatta ad alcune persone. Se all'inizio le cellule tumorali rispondono al trattamento, ma si ripresentano in un secondo momento, si parla di **recidiva**. Se il trattamento non funziona affatto, il tumore è chiamato **refrattario**.

Brexu-cel è un tipo di **terapia con cellule CAR-T**. Brexu-cel è stato approvato come trattamento per alcuni tipi di tumori del sangue.

La **terapia con cellule CAR-T** è una forma di trattamento antitumorale che utilizza le cellule immunitarie del paziente. **CAR** è l'acronimo di **recettore chimerico dell'antigene**, una proteina speciale prodotta in laboratorio. Per preparare brexu-cel, i linfociti T, un tipo di GB che aiuta a combattere le infezioni, vengono raccolti dal sangue del paziente attraverso un processo chiamato leucaferesi. Queste cellule vengono poi modificate in laboratorio affinché esprimano la proteina CAR. Una volta pronte, le cellule modificate (chiamate cellule CAR T, brexu-cel) vengono reinfuse nel flusso sanguigno del paziente attraverso un'iniezione in una vena, dove agiscono per identificare e distruggere le cellule tumorali.

ZUMA-25C è un **sottostudio** dello studio principale chiamato ZUMA-25. Si tratta di un sottostudio clinico di **fase 2**. Ciò significa che i ricercatori hanno testato brexu-cel in un piccolo numero di persone con LB recidivante o refrattario (r/r) in un **sottostudio** dello studio principale.

Un **sottostudio** esamina dettagli o domande specifici relativi allo studio principale, aiutando i ricercatori a ottenere informazioni più dettagliate senza iniziare un nuovo studio.



Qual era l'obiettivo dello studio?

Lo scopo di questo sottostudio era quello di scoprire quanto fosse sicuro ed efficace brexu-cel nel trattamento dei partecipanti con LB r/r.

Le domande principali a cui i ricercatori volevano rispondere in questo studio erano:

Quanti partecipanti hanno ottenuto una **risposta completa o parziale** dopo aver assunto il trattamento?

- ° Per **risposta completa** si intende che il tumore è completamente scomparso sia dal sangue che dal midollo osseo e vi è un aumento delle cellule ematiche sane.
- ° Per **risposta parziale** si intende che il tumore ha risposto al trattamento, ma non è completamente scomparso. Le cellule tumorali si sono ridotte di numero o di dimensioni, ma alcune rimangono ancora.

Complessivamente, la risposta completa e parziale è nota come risposta obiettiva.

I ricercatori desideravano anche sapere se i partecipanti hanno manifestato eventuali effetti collaterali durante lo studio.



Chi ha partecipato allo studio?

Allo studio hanno partecipato **12** partecipanti con LB r/r provenienti da **Italia, Paesi Bassi, Spagna, Svizzera e Stati Uniti**.

Le persone potevano partecipare allo studio se:



Avevano almeno 18 anni di età.



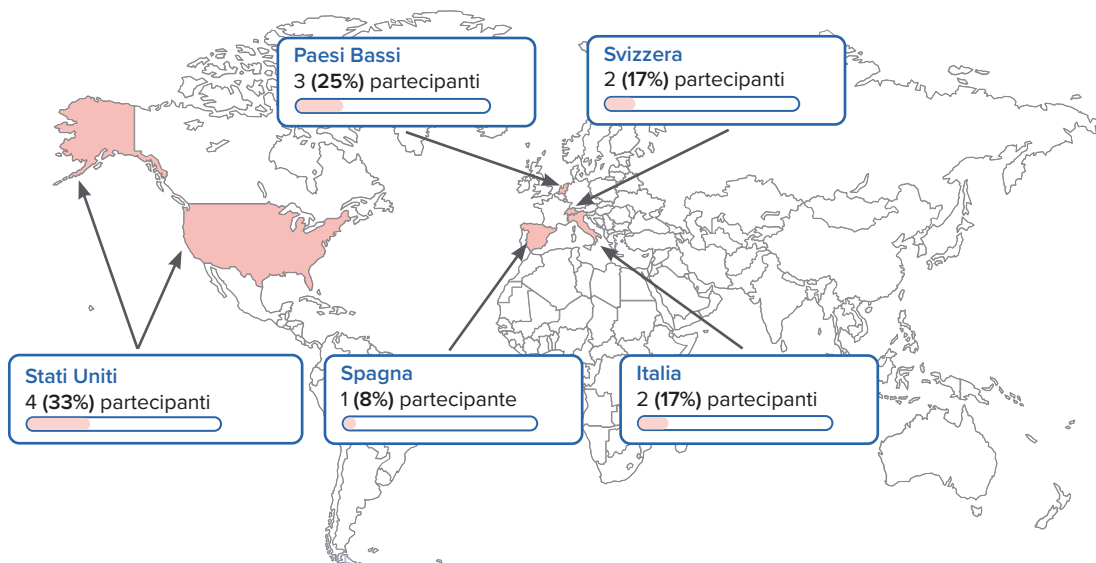
Presentavano LB r/r confermato.



Avevano assunto un trattamento per il LB in precedenza, ma non avevano risposto o avevano risposto all'inizio e il tumore si era ripresentato in un secondo momento.

I partecipanti allo studio avevano un'età compresa tra **36** e **70** anni.

I partecipanti di ciascun Paese sono mostrati di seguito (numero [%] di partecipanti).



La razza dei partecipanti è mostrata di seguito (numero [%] di partecipanti).

Bianca

11 (92%)

Altra o più di una razza

1 (8%)

L'etnia dei partecipanti è mostrata di seguito (numero [%] di partecipanti).

Non ispanica o latina

8 (67%)

Ispanica o latina

3 (25%)

Non raccolto

1 (8%)

Il sesso dei partecipanti è mostrato di seguito
Numero (%) di partecipanti



Maschi
6 (50%)



Femmine
6 (50%)

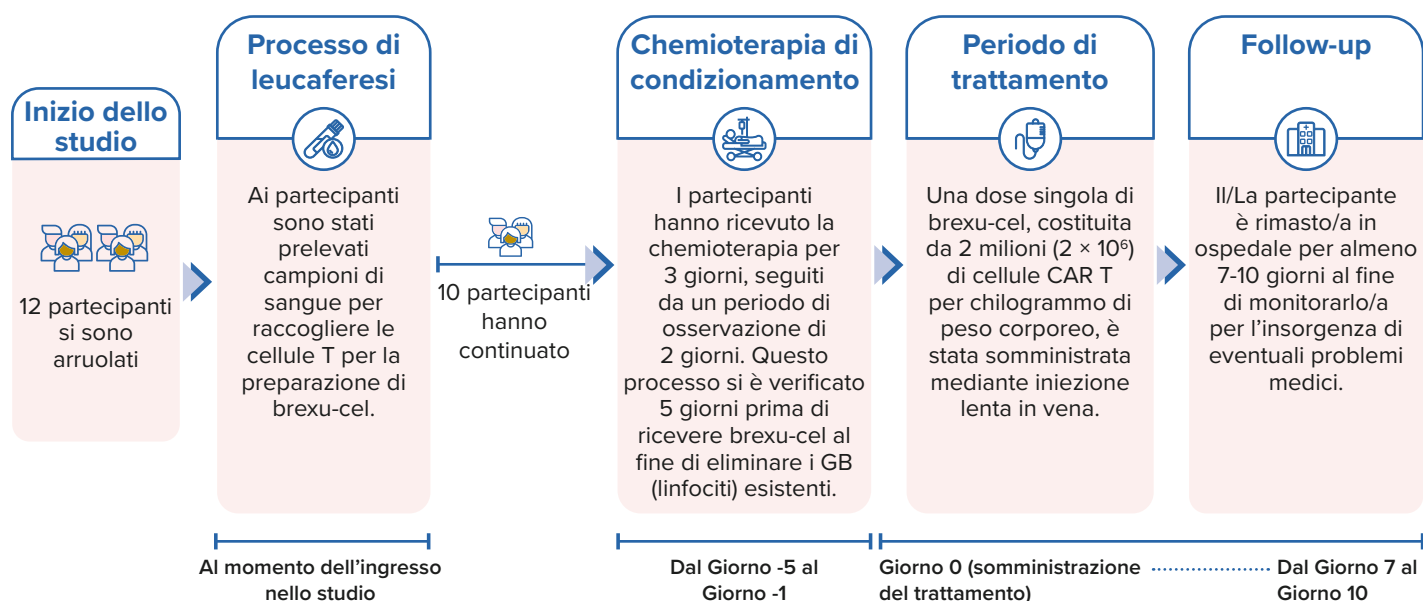
? Cosa è successo durante lo studio?

Si trattava di uno studio **in aperto**.

i **In aperto** significa che i partecipanti, i medici e il personale dello studio sapevano che i partecipanti stavano assumendo brexu-cel.

I ricercatori prevedevano di includere e trattare 30 partecipanti con LB r/r, per controllare l'efficacia di brexu-cel in questo sottostudio. **Tuttavia, lo sponsor ha deciso di chiudere lo studio anticipatamente. La chiusura anticipata dello studio non è stata dovuta ad alcun problema di sicurezza.** Nel momento in cui lo sponsor ha deciso di chiudere lo studio, erano stati arruolati solo 12 partecipanti. Tutti e 12 i partecipanti sono stati sottoposti a leucaferesi. Di questi, 10 hanno ricevuto la chemioterapia seguita dal trattamento con brexu-cel. I restanti 2 partecipanti non hanno ricevuto né la chemioterapia né brexu-cel.

I grafici seguenti mostrano il piano dello studio:



I medici dello studio hanno monitorato i partecipanti in ospedale per almeno 7-10 giorni dopo aver somministrato loro brexu-cel. Dopo le dimissioni, hanno consigliato ai partecipanti di rimanere nei pressi dell'ospedale per almeno 4 settimane dopo il trattamento con brexu-cel, nel caso in cui avessero bisogno di cure urgenti.

Alla chiusura dello studio, 6 partecipanti su 10 hanno interrotto lo studio: 4 sono deceduti durante lo studio, 1 ha scelto di interrompere la partecipazione e 1 ha manifestato un peggioramento della malattia. I restanti 4 partecipanti sono stati spostati in un diverso studio di follow-up a lungo termine (studio KT-US-982-5968; numero NCT: NCT05041309; numero EU CT: 2023-507041-28). In questo nuovo studio, i medici possono continuare a monitorare la loro salute e sicurezza per un massimo di 15 anni.

Quali sono stati i risultati dello studio?

Quanti partecipanti hanno ottenuto una risposta completa o parziale dopo aver assunto il trattamento?

Lo studio è stato chiuso prima del previsto. Poiché è stato arruolato solo un piccolo numero di partecipanti, i ricercatori non avevano sufficienti informazioni per rispondere a questa domanda principale dello studio o per stabilire se il trattamento avesse funzionato nei partecipanti con LB.



Quali effetti collaterali hanno manifestato i partecipanti durante lo studio?

I partecipanti allo studio possono manifestare eventi medici indesiderati quando assumono un farmaco oggetto di studio. In questo riepilogo, gli “**effetti collaterali**” sono definiti come eventi medici indesiderati che i medici dello studio ritenevano potessero essere causati dal farmaco dello studio.

Di solito sono necessari i risultati di diversi studi per poter decidere se un farmaco dello studio causa effettivamente un effetto collaterale.

I risultati di seguito includono solo 10 partecipanti che hanno ricevuto brexu-cel.

Un effetto collaterale è considerato “grave” se:

- causa un difetto congenito;
- richiede cure ospedaliere;
- causa problemi duraturi;
- è considerato clinicamente importante dal medico dello studio;
- è pericoloso per la vita;
- provoca il decesso.

Di seguito è riportato il riepilogo degli effetti collaterali che i partecipanti hanno manifestato durante lo studio:

- Tutti e 10 (100%) i partecipanti hanno manifestato alcuni effetti collaterali durante lo studio.
- 4 partecipanti su 10 (40%) hanno manifestato effetti collaterali gravi.
- **Nessuno dei partecipanti è deceduto a causa di eventuali effetti collaterali durante lo studio.**

Quali sono stati gli effetti collaterali gravi?

La tabella seguente mostra gli effetti collaterali gravi che si sono verificati durante lo studio.

Effetti collaterali gravi	
	Trattamento con brexu-cel (su 10 partecipanti)
	Numero (%) di partecipanti
Stato confusionale	2 (20%)
Una condizione che rende difficile per una persona parlare, comprendere gli altri, leggere o scrivere, a causa di un danno al cervello (afasia)	1 (10%)
Una condizione che rende difficile per le persone fare movimenti senza avvertire debolezza muscolare (aprassia)	1 (10%)
Una condizione che rende una persona meno sveglia, vigile e reattiva del normale (ridotto livello di coscienza)	1 (10%)
Pressione sanguigna bassa (ipotensione)	1 (10%)
Stanchezza (letargia)	1 (10%)
Basso numero di GB chiamati neutrofili (neutropenia)	1 (10%)
Grave infezione del sangue causata da un batterio (sepsi da Pseudomonas)	1 (10%)
Basso numero di piastrine (cellule che favoriscono la coagulazione del sangue) (trombocitopenia)	1 (10%)

Quali sono stati gli effetti collaterali non gravi?

La tabella seguente riporta gli effetti collaterali non gravi più comuni che si sono verificati in almeno il 40% dei partecipanti allo studio. Questi effetti collaterali non sono stati di natura grave e non hanno soddisfatto la definizione di “effetti collaterali gravi” menzionata nella sezione di cui sopra in questo riepilogo.

La tabella seguente mostra gli effetti collaterali non gravi che si sono verificati durante lo studio.

Effetti collaterali non gravi	
	Trattamento con brexu-cel (su 10 partecipanti)
	Numero (%) di partecipanti
Febbre (piressia)	10 (100%)
Diminuzione del numero di neutrofili (riduzione della conta dei neutrofili)	5 (50%)
Aumento di un enzima epatico (aumento dell'alanina aminotransferasi)	4 (40%)
Diminuzione del numero di GB (ridotta conta dei globuli bianchi)	4 (40%)

Vi sono stati altri effetti collaterali non gravi, ma si sono verificati in un numero inferiore di partecipanti. Alcuni partecipanti potrebbero aver manifestato più di 1 effetto collaterale grave o non grave.

? In che modo questo studio ha aiutato i ricercatori?

Anche se lo studio è terminato anticipatamente, le scarse informazioni che i ricercatori hanno acquisito potrebbero comunque essere utili. Possono utilizzare tali informazioni per pianificare studi futuri. Sono necessari i risultati di diversi studi per aiutare a decidere quali trattamenti funzionano e sono sicuri.

Parli sempre con un medico prima di apportare qualsiasi modifica al trattamento.

Kite, una società di Gilead, dispone di studi in corso con brexu-cel.



Dove posso ottenere maggiori informazioni su questo studio?

Può trovare maggiori informazioni su questo studio sui siti Web elencati di seguito.

Organizzazione (sito Web)	Identificativo dello studio
Agenzia europea per i medicinali www.euclinicaltrials.eu	Numero EU CT: 2022-501261-46
National Institutes of Health (NIH) degli Stati Uniti www.clinicaltrials.gov	NCT05537766
Sito web di Gilead www.gileadclinicaltrials.com	KT-US-568-0138-C

Si prega di notare che le informazioni su questi siti web possono essere presentate in modo diverso dal presente riepilogo.

Titolo completo dello studio: Studio basket di fase 2, in aperto, multicentrico volto a valutare l'efficacia di brexucabtagene autoleucel in adulti affetti da tumori maligni rari delle cellule B (ZUMA 25)

Sottostudio C – Linfoma di Burkitt (LB) recidivante/refrattario

Per saperne di più sulle sperimentazioni cliniche in generale, visiti questa [pagina](#) sul sito web www.clinicaltrials.gov

Kite, una società di Gilead

2400 Broadway, Santa Monica, CA 90404, Stati Uniti

E-mail: medinfo@kitepharma.com



I partecipanti agli studi clinici appartengono a una grande comunità di persone che partecipano alla ricerca clinica in tutto il mondo. Aiutano i ricercatori a rispondere a importanti domande sulla salute e a trovare trattamenti medici per i pazienti.

