



RESUMEN DE LOS RESULTADOS DEL ESTUDIO CLÍNICO EN LENGUAJE SENCILLO

Promotor del estudio: Kite, A Gilead Company

Número de protocolo de Kite: KT-US-568-0138-D

Fecha del estudio: Marzo de 2023 a junio de 2024 (el estudio se cerró antes de lo previsto)

Título abreviado del estudio: Estudio de brexucabtagén autoleucel (KTE-X19) en personas con leucemia de células pilosas recidivante/resistente

Sobrenombre del estudio: ZUMA-25D

Fecha de este resumen en lenguaje sencillo: Junio de 2025

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

Gracias

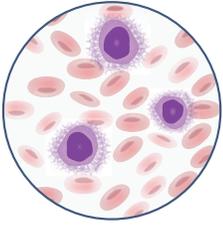
Gracias a los participantes que contribuyeron al estudio clínico del **brexucabtagén autoleucel (brexu-cel)**, también conocido como **KTE-X19**.

Kite, A Gilead Company, fue el promotor de este estudio. Creemos que es importante compartir los resultados con los participantes del estudio y el público 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 es la leucemia de células pilosas?

La **leucemia de células pilosas (LCP)** es un tipo raro de cáncer de la sangre. Las células cancerosas tienen un aspecto peludo, por lo que se denomina leucemia de células pilosas. La LCP comienza en la médula ósea, que es el material esponjoso que se encuentra dentro de los huesos. La **médula ósea** produce células madre que maduran hasta convertirse en glóbulos rojos (GR), glóbulos blancos (GB) y plaquetas. Los GR transportan oxígeno a diferentes partes del cuerpo, los GB ayudan a combatir infecciones y las plaquetas ayudan a que la sangre coagule. Un coágulo es un bulto espeso de sangre que se forma para detener una hemorragia.

En la LCP, las células madre se vuelven defectuosas y producen demasiadas células sanguíneas anómalas. Al no tener suficientes células sanguíneas sanas, una persona puede sentirse débil, cansada y tener infecciones con más facilidad. Un nivel bajo de plaquetas dificulta que la sangre se coagule en caso de lesión, por lo que la persona puede tener hematomas o sangrar más.

La **quimioterapia** ha sido el tratamiento de referencia para las personas con LCP. La **quimioterapia** son medicamentos que se utilizan para matar las células cancerosas. Sin embargo, es posible que estos tratamientos no sean adecuados para todos o que no funcionen en algunas personas. Cuando las células cancerosas responden inicialmente al tratamiento, pero vuelven a crecer más adelante, se dice que el cáncer ha **recidivado**. Si el tratamiento contra el cáncer no funciona en absoluto, se dice que el cáncer es **resistente**.

Brexu-cel es un tipo de **terapia de linfocitos T CAR**. Brexu-cel ha sido aprobado como tratamiento para otros tipos de cáncer de la sangre.

i Tratamiento de linfocitos T CAR: CAR significa **receptor de antígeno quimérico** (chimeric antigen receptor), que se produce en un laboratorio y se inserta en linfocitos T para atacar mejor las células cancerosas. Para preparar brexu-cel, los linfocitos T se extraen de la sangre del paciente, se modifican en un laboratorio y luego se vuelven a introducir en el cuerpo del paciente para ayudar a destruir el cáncer.

ZUMA-25D es un **subestudio** del estudio principal que se llama ZUMA-25. Este es un subestudio clínico en fase II, lo que significa que los investigadores probaron brexu-cel en un pequeño número de personas con LCP recidivante o resistente (r/r) en un **subestudio** del estudio principal. Esto se realizó en los participantes que no habían respondido o no estaban respondiendo a los tratamientos de quimioterapia utilizados anteriormente.

i Un **subestudio** analiza detalles específicos o preguntas en relación con el estudio principal, lo que ayuda a los investigadores a obtener información más detallada sin iniciar un estudio totalmente nuevo.

? ¿Cuál era el objetivo del estudio?

El objetivo de este subestudio era conocer la seguridad y la eficacia de brexu-cel en el tratamiento de participantes con LCP r/r.

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

- ¿Cuántos participantes lograron una **respuesta completa o parcial** después de usar el tratamiento?
 - **Respuesta completa** significa que el cáncer ha desaparecido totalmente de la sangre y la médula ósea y hay un aumento de células sanguíneas sanas.
 - **Respuesta parcial** significa que el cáncer ha respondido al tratamiento, pero no ha desaparecido completamente. Las células cancerosas se han reducido en número o tamaño, pero aún quedan algunas.

En conjunto, la respuesta completa y la parcial se conocen como respuesta objetiva.

Los investigadores también querían saber si había algún efecto secundario que los participantes tuvieran durante el estudio.



¿Quiénes participaron en el estudio?



Solo **1 participante** con LCP r/r participó en el estudio en los Países Bajos.

Las personas podían participar en el estudio si:



Tenían al menos 18 años de edad.



Tenían LCP r/r confirmada.



Antes habían realizado tratamiento para LCP r/r, sin conseguir respuesta.



¿Qué ocurrió durante el estudio?

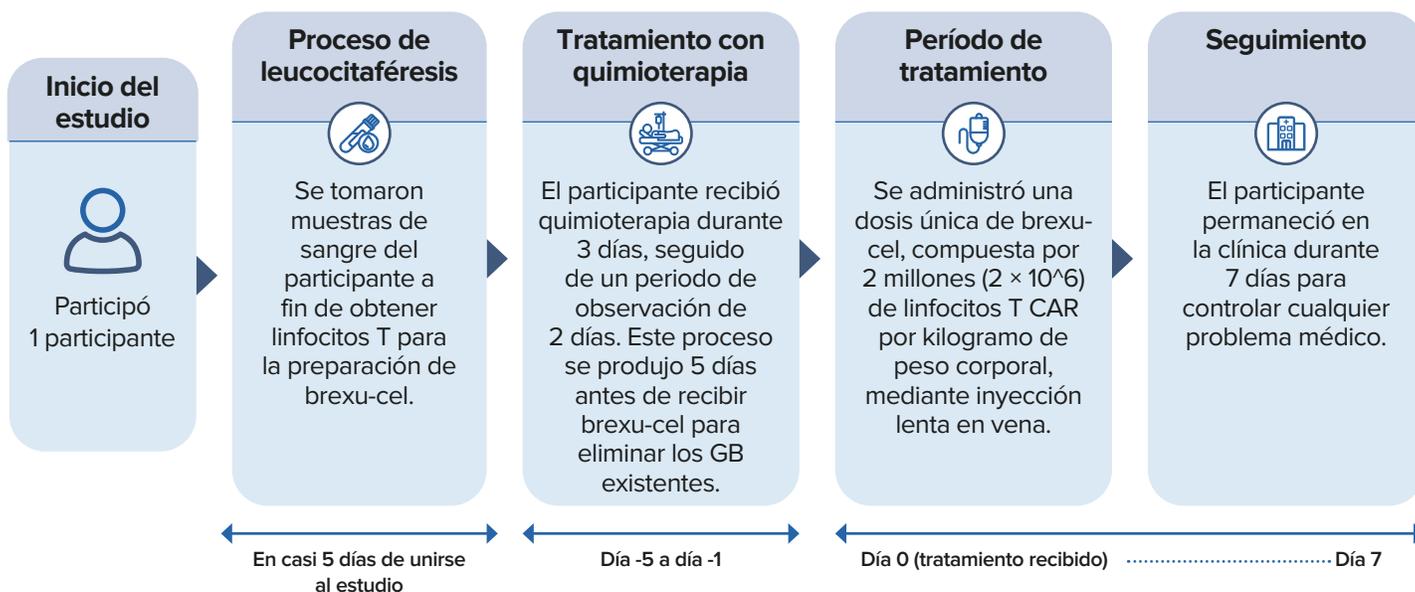
Se trataba de un estudio **abierto**.



Abierto significa que el participante, los médicos y el personal del estudio sabían que estaba usando brexu-cel.

Los investigadores tenían previsto incluir y tratar a 20 participantes con LCP r/r, para comprobar la eficacia de brexu-cel en este subestudio. **Sin embargo, el promotor decidió cerrar el estudio de forma anticipada. El cierre temprano del estudio no se debió a ningún problema de seguridad.** En el momento en que el promotor decidió cerrar el estudio, solo 1 participante se había unido y recibido el tratamiento.

Los siguientes gráficos muestran el plan del estudio:



Se supervisó al participante durante 12 meses después de recibir el tratamiento con brexu-cel. Posteriormente, el participante se unió a otro estudio de seguimiento a largo plazo sobre brexu-cel (estudio KT-US-982-5968; número NCT: NCT05041309; número de ensayo clínico de la UE: 2023-507041-28), en el que será supervisado por seguridad durante un período de 15 años.



¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

¿Cuántos participantes lograron una respuesta completa o parcial después de usar el tratamiento?

Como el estudio se cerró demasiado pronto, los investigadores no tenían suficiente información para determinar cómo funcionaba el tratamiento. La información de un solo participante no fue suficiente para extraer conclusiones significativas sobre la efectividad o los resultados del tratamiento.



¿Qué efectos secundarios tuvieron los participantes durante el estudio?

Los participantes de estudios pueden sufrir acontecimientos médicos no deseados con el tratamiento 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 tratamiento del estudio.

Suelen ser necesarios resultados de varios estudios para ayudar a decidir si un tratamiento causa realmente un efecto secundario.

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 clínico
- causa problemas prolongados
- requiere atención hospitalaria
- causa un defecto congénito

El participante no tuvo ningún efecto secundario grave y se sabe que estaba vivo hasta el último contacto en este estudio.

El participante presentó efectos secundarios **no graves** que no se correspondían con la definición anterior de efectos secundarios graves.

Los efectos secundarios estuvieron relacionados con:

- sangre y sistema inmunitario
- corazón
- cerebro, médula espinal y nervios
- pulmones y pecho



¿Cómo ha ayudado este estudio a los investigadores?

Aunque el estudio finalizó de forma anticipada, la poca información que obtuvieron los investigadores podría ser útil. Pueden utilizar la información de un solo participante para planificar futuros estudios. Son necesarios los resultados de varios estudios para ayudar a decidir qué tratamientos funcionan y cuáles son seguros.

Hable siempre con un médico antes de hacer cualquier cambio en el tratamiento.

En este momento, Kite, A Gilead Company, no tiene previsto realizar más estudios clínicos con brexu-cel para la LCP r/r.



¿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.euclinicaltrials.eu)	EU CT number: 2022-501262-21
Instituto Nacional de Salud (NIH) de Estados Unidos (www.clinicaltrials.gov)	NCT05537766
www.gileadclinicaltrials.com	KT-US-568-0138-D

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

Título completo del estudio: Estudio en fase II, abierto, multicéntrico y en cesta para evaluar la eficacia de brexucabtagén autoleucel en adultos con neoplasias malignas raras de linfocitos B (ZUMA-25) –
Subestudio D – Leucemia de células pilosas recidivante/resistente

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

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



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

