



RESUMEN EN LENGUAJE SENCILLO DE LOS RESULTADOS DEL ESTUDIO CLÍNICO



Patrocinador del estudio: Kite Pharma, una división de Gilead Sciences

Número de estudio de Kite: KT-US-486-0201

Fechas del estudio: julio de 2021 a mayo de 2024 (el estudio se cerró antes de lo planificado)

Título abreviado del estudio: Estudio de KITE-222 en personas con leucemia mieloide aguda recidivante/refractaria

Fecha de este resumen en lenguaje sencillo: Abril de 2025

La información de este resumen no incluye ninguna información disponible posterior a esa fecha.

Gracias

Gracias a los participantes que contribuyeron al estudio clínico de **KITE-222**.

Kite Pharma, una división de Gilead Sciences, patrocinó este estudio. Creemos que es importante compartir los resultados con los participantes del estudio y con el público en general.

Si participó en el estudio y tiene preguntas sobre los resultados, hable con un médico o un miembro del personal del centro del estudio.

Hable siempre con un médico o proveedor de atención médica antes de realizar cualquier cambio en el tratamiento.



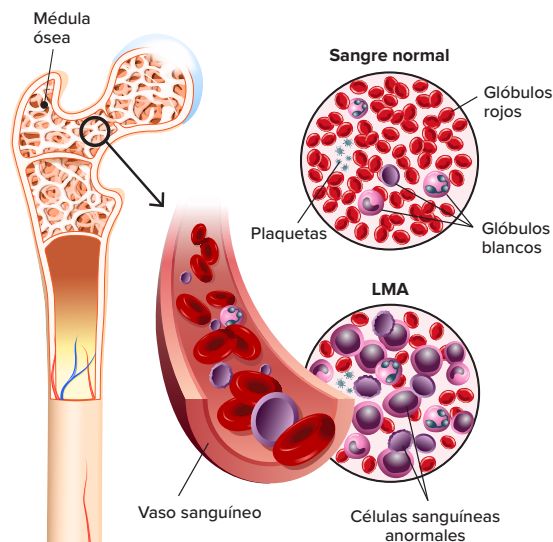
Información general sobre el estudio

¿Qué es la leucemia mieloide aguda (LMA)?

La **LMA** es un tipo de cáncer de la sangre. En personas sanas, las células formadoras de sangre (**células madre**, también conocidas como células mieloides) en la médula ósea producen 3 tipos principales de células sanguíneas: glóbulos rojos (GR), glóbulos blancos (GB) y plaquetas. La médula ósea es el tejido blando y esponjoso que se encuentra dentro de los huesos.

En la LMA, la médula ósea produce demasiadas células defectuosas llamadas **células blásticas**. Estas células no crecen ni funcionan como células sanguíneas normales. Con el tiempo, estas células defectuosas se acumulan y desplazan las células sanguíneas sanas. Esto puede provocar infecciones graves y otras cuestiones de salud que pueden provocar la muerte.

La **quimioterapia** ha sido el tratamiento estándar para las personas con LMA. La quimioterapia es una combinación de medicamentos que matan las células cancerosas. Hay otras opciones de tratamiento alternativo que se están estudiando para tratar la LMA. Sin embargo, es posible que estos tratamientos no sean adecuados para todos o que no funcionen para algunas personas. A veces, el cáncer se reduce o desaparece con el tratamiento, pero puede reaparecer más tarde, esto se denomina **cáncer recidivante**. Otras veces, el cáncer no responde al tratamiento, lo que se denomina **cáncer refractario**.



¿Qué es KITE-222?

KITE-222 consiste en células T modificadas con el receptor de antígeno quimérico (CAR). Las células T son un tipo de linfocito. Los linfocitos son un tipo de glóbulos blancos, que forman parte del sistema inmunitario y ayudan a combatir las infecciones. KITE-222 se prepara usando las propias células T del paciente que se extraen de la sangre, se modifican genéticamente en el laboratorio y luego se vuelven a administrar al paciente en forma de inyección lenta en una vena.

En este estudio, los investigadores tenían como objetivo obtener más información sobre un fármaco llamado KITE-222 como tratamiento para personas con LMA recidivante o refractaria. Esto incluyó a personas que desarrollaron LMA con o sin experiencia previa en trastornos sanguíneos o tratamientos previos contra el cáncer.

Se trata de un **estudio clínico de fase 1**. Significa que los investigadores analizaron cómo funciona KITE-222 en el cuerpo humano.

Los investigadores evaluaron KITE-222 en el cuerpo humano por primera vez durante este estudio.

¿Cuál fue el objetivo del estudio?

El objetivo de este estudio fue obtener más información sobre la seguridad y la administración de las dosis de KITE-222 en participantes con LMA recidivante o refractaria.

Los investigadores querían encontrar la máxima dosis segura de KITE-222, conocida como la dosis máxima tolerada (DMT), que no causara ningún efecto secundario perjudicial. Estudiaron diferentes dosis de KITE-222 y monitorearon de cerca a los participantes para detectar cualquier signo de **toxicidad limitante de la dosis (TLD)**.

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

- ¿Cuántos participantes tuvieron **toxicidades limitantes de la dosis (TLD)** durante el estudio, si las hubo?

Una **TLD** es un evento médico lo suficientemente grave como para que el médico del estudio no aumente la dosis de KITE-222 del participante.

También querían averiguar si los participantes tenían algún efecto secundario durante el estudio.



¿Quién participó en el estudio?

- **15 participantes** en Francia y Estados Unidos con LMA recidivante o refractaria participaron en este estudio.
- **3 participantes** abandonaron el estudio antes de tomar KITE-222 y no fueron incluidos en los resultados del estudio.

Las personas podían participar en el estudio si:



Tenían al menos
18 años de edad



Tenían LMA
recidivante o
refractaria



Habían recibido tratamientos
previos para la LMA que no
funcionaron bien o que dejaron
de funcionar.



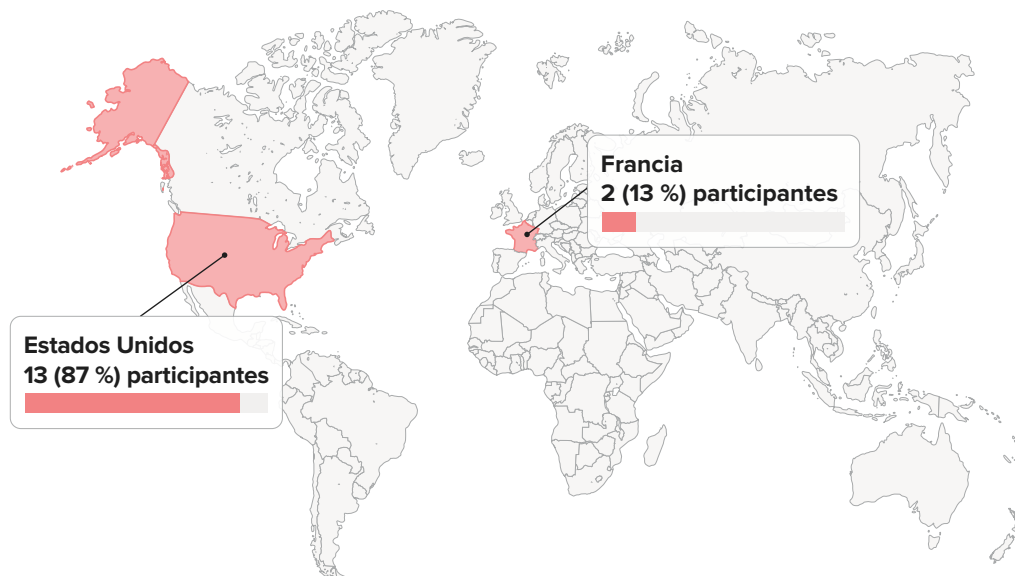
Se consideraban aptos para el
trasplante **de células madre** y
tenían identificado a un donante
antes del inicio del estudio



El trasplante de **células madre** es un procedimiento que reemplaza las células cancerosas con células sanas en la médula ósea. Las personas podían recibir células madre de un donante.

Los participantes tenían entre **26 y 76 años** cuando se incorporaron al estudio.

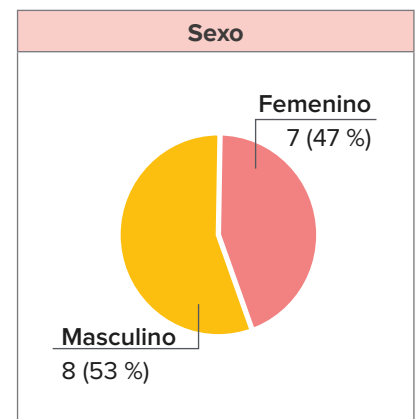
El siguiente mapa muestra la cantidad de participantes en el estudio de cada país.



A continuación se indican el sexo, la raza y el origen étnico de los participantes.

Raza	Cantidad de participantes (%)
Raza blanca	11 (73 %)
Otra o más de una raza	3 (20 %)
Negros o afroamericanos	1 (7 %)

Origen étnico	Cantidad de participantes (%)
No hispano ni latino	13 (87 %)
Hispano o latino	1 (7 %)
No recopilado	1 (7 %)



? ¿Qué sucedió durante el estudio?

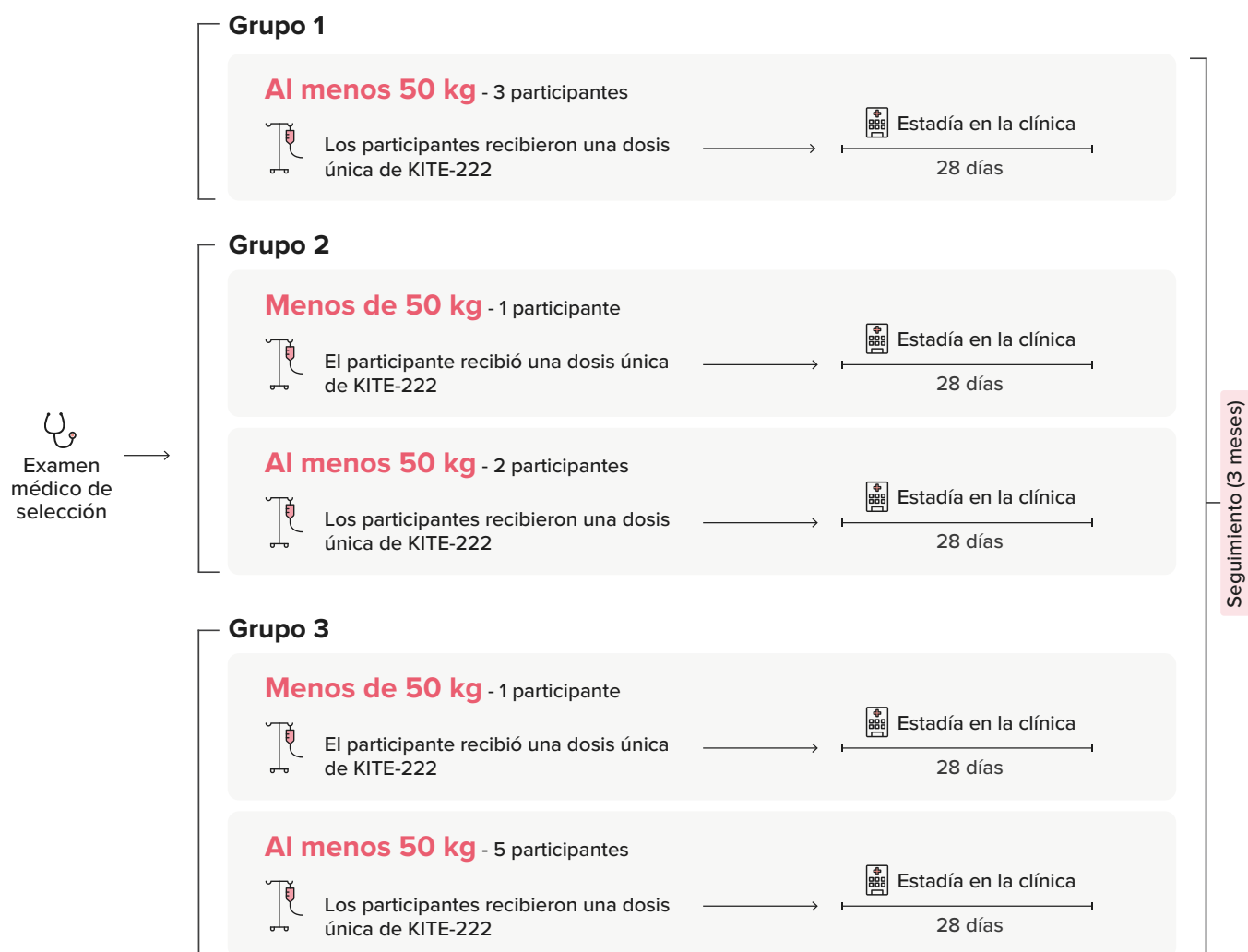
Al inicio del estudio, los participantes se sometieron a una selección médica para ver si podían participar en el estudio. Los médicos del estudio verificaron la salud y el historial médico de los participantes. A cada participante se le realizó un examen de diagnóstico por imágenes para ver hasta qué punto se había extendido el cáncer. Este fue un **estudio abierto**, lo que significa que cada participante sabía qué tratamiento estaba tomando, y los médicos y el personal del estudio también lo sabían.

Durante el estudio, los participantes proporcionaron sus muestras de sangre. Cada muestra se utilizó para recolectar las células T, que luego se utilizaron para producir KITE-222. Los participantes cuya LMA empeoró durante esta parte del estudio podían recibir el tratamiento del estándar de atención. El estándar de atención fue el mejor tratamiento para la LMA que los investigadores tenían disponible en el momento en que estaban tratando a cada participante.

Antes de que los participantes recibieran KITE-222, recibieron quimioterapia durante un total de 3 días. Esto se hizo 5 días antes de tomar KITE-222. Incluía:

- **Ciclofosfamida**, administrada en forma de inyección lenta en la vena
- **Fludarabina**, administrada en forma de inyección lenta en la vena

En este estudio, los participantes fueron distribuidos en 1 de 3 grupos de tratamiento. KITE-222 se administró como una dosis única de inyección lenta en la vena. Las dosis se basaron en el peso de los participantes. Los participantes del Grupo 1 comenzaron con una dosis baja de KITE-222. Los médicos del estudio revisaron los resultados de estos participantes. En función de estos resultados, decidieron si aumentar la dosis para el siguiente grupo (un proceso denominado aumento gradual de la dosis). Los investigadores utilizan estudios de aumento gradual de la dosis para conocer la seguridad de una dosis específica antes de administrar a los participantes una dosis más alta. En este estudio, el Grupo 1 recibió una dosis baja, el Grupo 2 recibió una dosis más alta y el Grupo 3 recibió la dosis máxima.



Después de recibir KITE-222, los participantes permanecieron en la clínica del estudio durante 28 días. Durante este período, los médicos del estudio observaron a los participantes para detectar cualquier cuestión médica. Los participantes tuvieron una visita de seguimiento hasta 3 meses después de haber recibido KITE-222. Los médicos del estudio examinaron los resultados de los participantes que recibieron KITE-222. Si los niveles de neutrófilos (un tipo de glóbulo blanco que combate las infecciones) del participante permanecían bajos durante mucho tiempo, el médico podría decidir que necesitan un trasplante de células madre.

El estudio planeaba inscribir más participantes una vez que los investigadores identificaran una dosis adecuada de KITE-222. Sin embargo, después de analizar los datos de los participantes de los Grupos 1, 2 y 3, los médicos del estudio encontraron que KITE-222 no produjo beneficios a los participantes. **Como resultado, Kite decidió interrumpir el estudio. Esto no se debió a ninguna cuestión médica que los participantes tuvieran durante el estudio. El estudio se interrumpió porque KITE-222 no funcionó como se esperaba.**



¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Este es un resumen de los resultados principales de este estudio. Los resultados individuales de cada participante pueden ser diferentes y no se incluyen en este resumen. Se pueden encontrar resultados detallados en los sitios web que figuran al final de este resumen.

¿Cuántos participantes tuvieron toxicidades limitantes de la dosis (TLD) durante el estudio, si las hubo?

Los médicos del estudio controlaron a los participantes para detectar TLD. Las TLD fueron eventos médicos relacionados con KITE-222 que los participantes tuvieron dentro de los primeros 28 días después de recibir KITE-222.

Los resultados incluyeron 11 participantes que recibieron KITE-222 en los Grupos 1, 2 o 3, y que tuvieron un seguimiento durante un mínimo de 28 días después de la primera dosis.

La siguiente tabla muestra la cantidad de participantes que tuvieron TLD durante el estudio:

Toxicidades limitantes de la dosis				
	Grupo 1 (de 3 participantes)	Grupo 2 (de 3 participantes)	Grupo 3 (de 5 participantes)	Total (de 11 participantes)
	Cantidad de participantes (%)			
¿Cuántos participantes tuvieron TLD?	0	0	1 (20 %)	1 (9 %)

En general, 1 participante del Grupo 3 tuvo una TLD durante el estudio. Los investigadores analizaron los resultados y las dosis de KITE-222 evaluadas dentro de los Grupos 1 y 2 se consideraron seguras.



¿Qué efectos secundarios tuvieron los participantes durante el estudio?

A los participantes del estudio les pueden ocurrir eventos médicos no deseados cuando reciben el tratamiento del estudio. En este resumen, los **efectos secundarios** se definen como eventos médicos no deseados que los médicos del estudio pensaron que podrían estar causados por el tratamiento del estudio.

Por lo general, se necesitan los resultados de varios estudios para ayudar a decidir si un tratamiento realmente causa un efecto secundario.

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

- Provoca la muerte.
- Es potencialmente mortal.
- Se considera importante desde el punto de vista médico por el médico del estudio.
- Causa problemas duraderos.
- Exige atención hospitalaria.
- Causa un defecto congénito.

Hubo 3 participantes que no tomaron ningún tratamiento del estudio. Por lo tanto, los resultados de esta sección solo incluyen a 12 participantes.

Ningún participante murió a causa de efectos secundarios

La siguiente tabla muestra cuántos participantes tuvieron efectos secundarios durante el estudio.

Efectos secundarios generales			
	Grupo 1 (de 3 participantes)	Grupo 2 (de 3 participantes)	Grupo 3 (de 6 participantes)
	Cantidad de participantes (%)		
¿Cuántos participantes presentaron efectos secundarios graves?	0	1 (33 %)	2 (33 %)
¿Cuántos participantes presentaron algún efecto secundario?	1 (33 %)	3 (100 %)	5 (83 %)

La tabla siguiente muestra todos los efectos secundarios graves que se produjeron durante el estudio. Algunos participantes pueden haber tenido más de 1 efecto secundario grave.

Efectos secundarios graves			
	Grupo 1 (de 3 participantes)	Grupo 2 (de 3 participantes)	Grupo 3 (de 6 participantes)
	Cantidad de participantes (%)		
Exceso de líquido alrededor del corazón que le impide bombear suficiente sangre (taponamiento cardíaco)	0	1 (33 %)	0
Enfermedad del cerebro que altera gravemente el pensamiento (encefalopatía)	0	0	1 (17 %)
El sistema inmunitario es hiperactivo y ataca las células normales (linfocitosis hemofagocítica)	0	0	1 (17 %)
Presión arterial baja (hipotensión)	0	0	1 (17 %)
Acumulación de líquido alrededor del corazón (derrame pericárdico)	0	1 (33 %)	0
Inflamación de la membrana que rodea el corazón (pericarditis)	0	1 (33 %)	0

¿Cuáles fueron los efectos secundarios no graves?

La tabla siguiente muestra los efectos secundarios no graves más frecuentes que se produjeron en más del 30 % de los participantes durante el estudio. Estos efectos secundarios no eran de naturaleza grave y no se ajustaban a la definición de “efectos secundarios graves” mencionada en la sección anterior de este resumen.

Hubo otros efectos secundarios no graves, pero ocurrieron en menos participantes. Algunos participantes pueden haber tenido más de un efecto secundario no grave.

Efectos secundarios no graves más frecuentes			
	Grupo 1 (de 3 participantes)	Grupo 2 (de 3 participantes)	Grupo 3 (de 6 participantes)
	Cantidad de participantes (%)		
Fiebre (pirexia)	1 (33 %)	2 (67 %)	5 (83 %)
Presión arterial baja (hipotensión)	0	2 (67 %)	2 (33 %)
Disminución del nivel de oxígeno que llega a los tejidos corporales (hipoxia)	0	1 (33 %)	3 (50 %)



¿Cómo ha ayudado este estudio a los investigadores?

Los investigadores aprendieron más sobre la seguridad de KITE-222 en personas con LMA recidivante o refractaria.

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

KITE decidió interrumpir el estudio después de analizar los datos de 12 participantes. El estudio se interrumpió porque KITE-222 no funcionó como se esperaba y no debido a ninguna cuestión médica que los participantes tuvieran durante el estudio.

Gilead Sciences no tiene previsto realizar más estudios clínicos con KITE-222.



¿Dónde puedo obtener más información sobre este estudio?

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

Organización (sitio web)	Identificador del estudio
Agencia Europea de Medicamentos www.euclinicaltrials.eu	EU CT Number: 2023-507748-35-00
Institutos Nacionales de Salud (National Institutes of Health, NIH) de los Estados Unidos www.clinicaltrials.gov	ID en ClinicalTrials.gov: NCT04789408
Ensayos clínicos de Gilead www.gileadclinicaltrials.com	KT-US-486-0201

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

Título completo del estudio: Estudio de fase 1, abierto, multicéntrico, para evaluar la seguridad de KITE-222, una terapia autóloga de células T CAR Anti-CLL-1, en sujetos con leucemia mieloide aguda recidivante/refractaria

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

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

Gracias

Los participantes de estudios clínicos pertenecen a 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 encontrar tratamientos médicos para los pacientes.

