

Resultados del estudio clínico



Patrocinador de la investigación: Eisai Inc.

Fármaco estudiado:

Lorcaserina, también llamada E2023

Título abreviado del estudio:

Estudio para averiguar si la lorcaserina funciona para tratar personas con síndrome de Dravet y comprender su perfil de seguridad

Gracias

Usted o su hijo participaron en este estudio clínico del fármaco del estudio E2023, también denominado lorcaserina. Todas las personas que participaron ayudaron a los investigadores a obtener más información sobre la lorcaserina y si puede ayudar a las personas con síndrome de Dravet. El **síndrome de Dravet** es una afección rara y a largo plazo que afecta el cerebro. Esta afección causa un tipo prolongado y grave de epilepsia que comienza en el primer año de vida.

Eisai, una compañía farmacéutica japonesa que fue el patrocinador de este estudio, le agradece su ayuda. Eisai se compromete a mejorar la salud a través de la investigación continua en áreas de necesidades insatisfechas y a compartir los resultados del estudio con los participantes.

Eisai ha preparado este resumen del estudio y sus resultados con una organización de redacción médica y reguladora llamada Certara.

Si usted o su hijo participaron en este estudio y tienen preguntas sobre los resultados, hablen con el médico o el personal de su centro del estudio.

¿Qué ha sucedido desde que comenzó el estudio?

Un total de 22 participantes de 25 centros en Canadá y los Estados Unidos se incorporaron al estudio.

Este estudio tuvo 2 fases: Fase principal y fase de extensión.

Durante la **fase principal**, 21 de 22 participantes tomaron lorcaserina o placebo. Un placebo tiene el mismo aspecto que la lorcaserina, pero no contiene ningún medicamento. Un total de 15 de 21 participantes completaron su tratamiento.

De los 15 participantes que completaron la fase principal, 14 ingresaron en la **fase de extensión**. Todos los participantes tomaron lorcaserina en la fase de extensión y completaron su tratamiento.

El estudio comenzó en octubre de 2020. En agosto de 2024, el estudio finalizó antes de lo planificado. Esto se debió a que era difícil encontrar suficientes participantes con síndrome de Dravet.

El patrocinador del estudio revisó los datos recopilados y creó un informe de los resultados. Este es un resumen de ese informe.

¿Por qué fue necesaria la investigación?

Los investigadores buscaban una forma diferente de tratar a las personas que tienen síndrome de Dravet. Actualmente, el único tratamiento para el síndrome de Dravet son medicamentos que ayudan a controlar las convulsiones.

Los investigadores de este estudio querían averiguar si la lorcaserina puede reducir las crisis convulsivas en personas con síndrome de Dravet. Una **crisis convulsiva** se produce cuando una persona pierde repentinamente el control del cuerpo y comienza a agitarse o sacudirse de manera incontrolable. También querían averiguar si los participantes tenían algún problema médico durante el estudio.

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

- ¿Los participantes que tomaron lorcaserina tuvieron menos crisis convulsivas cada 4 semanas que aquellos que tomaron un placebo?
- ¿Qué reacciones adversas tuvieron los participantes que recibieron lorcaserina? Una reacción adversa es un problema médico que puede ser causado por el tratamiento del estudio.

Es importante saber que este estudio fue diseñado para obtener respuestas precisas a las preguntas mencionadas anteriormente. Hubo otras preguntas que los investigadores querían responder para obtener más información sobre cómo funciona la lorcaserina, pero estas no eran las preguntas principales para las que el estudio se había diseñado para responder.

¿Qué tipo de estudio fue este?

Para responder las preguntas principales anteriores, los investigadores pidieron la ayuda de los participantes que tenían al menos 2 años y tenían crisis convulsivas debido al síndrome de Dravet. De estos participantes que comenzaron el estudio, el 55 % eran hombres y el 45 % eran mujeres.

Durante la **fase principal**, se utilizó un programa informático para asignar a los participantes a un grupo de tratamiento:

- **Grupo de lorcaserina:** los participantes tomaron lorcaserina.
- **Grupo de placebo:** los participantes tomaron placebo.

Los participantes en la fase principal tomaron lorcaserina o placebo como suspensión dos veces al día en función de su peso corporal. Una suspensión es un líquido con partículas sólidas (medicamento) en ella.

La fase principal fue a “doble ciego”. Esto significa que los participantes, los médicos y el personal del estudio, y el patrocinador no sabían si los participantes tomaban lorcaserina o placebo hasta que esta fase terminó. La fase principal duró 14 semanas.

Los participantes que completaron la fase principal ingresaron en la **fase de extensión**. Durante esta fase, los participantes tomaron lorcaserina en función de su peso.

- **Grupo de lorcaserina/lorcaserina:** los participantes que tomaron lorcaserina en la fase principal continuaron tomando lorcaserina.
- **Grupo de placebo/lorcaserina:** los participantes que tomaron placebo en la fase principal cambiaron a lorcaserina.

Esta fase fue **“abierta”**. Esto significa que los participantes, los médicos y el personal del estudio, y el patrocinador sabían que los participantes estaban tomando lorcaserina. La fase de extensión duró 12 semanas.

La figura a continuación muestra cómo se administró el tratamiento en el estudio.



21 participantes
tomaron al menos
1 dosis del tratamiento
del estudio



Los participantes
tomaron su tratamiento
del estudio asignado
como suspensión



14 semanas de
tratamiento en la **fase**
principal, **12 semanas**
en la **fase de extensión**

¿Qué sucedió durante el estudio?

Antes de que comenzara el tratamiento, los médicos del estudio realizaron un control completo para asegurarse de que cada participante pudiera participar en el estudio.

Los médicos y el personal del estudio también:

- Confirmaron que los participantes tenían crisis convulsivas debido al síndrome de Dravet
- Obtuvieron muestras de sangre y orina para realizar análisis.
- Entregaron los diarios de convulsiones y les pidieron a los participantes o a sus cuidadores que los completaran.

Durante el período de tratamiento en cualquiera de las fases, los participantes recibieron su dosis asignada del tratamiento del estudio (lorcaserina o placebo) durante 14 semanas en la fase principal y 12 semanas en la fase de extensión.

Durante todo el período de tratamiento, los médicos del estudio:

- Controlaron los diarios de convulsiones de los participantes para determinar si la cantidad de crisis convulsivas cambió con el tratamiento del estudio.
- Preguntaron acerca de los problemas médicos que experimentaron los participantes y otros medicamentos que tomaron.

Alrededor de 4 semanas después de su última dosis en cualquier fase, todos los participantes regresaron al centro del estudio. Durante esta visita, los médicos o el personal del estudio preguntaron sobre los problemas médicos que los participantes habían experimentado y los medicamentos que los participantes habían tomado.

La figura a continuación muestra cómo se realizó el estudio.

¿Cómo funcionó este estudio?

Antes del período de tratamiento

Los médicos o el personal del estudio:

- Controlaron la salud de cada participante para asegurarse de que pudieran participar en el estudio.
- Confirmaron que los participantes tenían crisis convulsivas debido al síndrome de Dravet
- Entregaron los diarios de convulsiones y les pidieron a los participantes o a sus cuidadores que los completaran.

Durante el período de tratamiento

Todos los participantes tomaron el tratamiento del estudio asignado.

Los médicos o el personal del estudio:

- Controlaron los diarios de convulsiones de los participantes para determinar si la cantidad de crisis convulsivas cambió con el tratamiento del estudio.
- Preguntaron acerca de los problemas médicos que experimentaron los participantes y otros medicamentos que tomaron.

Después del período de tratamiento

Todos los participantes regresaron a los centros del estudio

4 semanas después de su última dosis del tratamiento del estudio.

Durante esta visita, los médicos o el personal del estudio les preguntaron a los participantes sobre los problemas médicos que experimentaron y otros medicamentos que tomaron.

¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

Este es un resumen de los resultados principales de este estudio. Los resultados individuales de cada participante fueron diferentes y únicos para ellos. Los resultados individuales no se proporcionan por separado en este resumen, pero los resultados de todos los participantes se resumen juntos aquí. Puede encontrar una lista completa de las preguntas que los investigadores querían responder en los sitios web que figuran al final de este resumen. Si está disponible un informe completo de los resultados del estudio, también puede encontrarse en estos sitios web.

Los investigadores analizan los resultados de muchos estudios para decidir qué opciones de tratamiento pueden funcionar mejor y son bien toleradas por los pacientes. Otros estudios pueden proporcionar información nueva o resultados diferentes. Siempre hable con un médico antes de tomar decisiones de tratamiento.

¿Los participantes que tomaron lorcaserina tuvieron menos crisis convulsivas cada 4 semanas que aquellos que tomaron un placebo?

Para responder esta pregunta, los médicos del estudio observaron los diarios de convulsiones de los participantes durante la fase principal para determinar si la lorcaserina redujo la cantidad de crisis convulsivas cada 4 semanas.

Los médicos del estudio contaron la cantidad de convulsiones 4 semanas antes de que **los participantes** comenzaran a tomar el tratamiento del estudio y cada 4 semanas después de tomar el tratamiento del estudio durante 14 semanas. Luego, los médicos del estudio compararon los resultados de los participantes que tomaron lorcaserina con aquellos que tomaron placebo.

Después de 14 semanas de tratamiento en la fase principal, los participantes en el grupo de lorcaserina tuvieron **menos** crisis convulsivas cada 4 semanas en comparación con los del grupo de placebo.

¿Qué problemas médicos tuvieron los participantes?

Los problemas médicos que les suceden a los participantes en estudios clínicos se denominan “eventos adversos”. Si los médicos del estudio consideran que un evento adverso fue causado por el fármaco del estudio, se denomina “reacción adversa”. Las reacciones adversas se consideran “graves” si el participante debe ser ingresado en el hospital, si son potencialmente mortales o si causan problemas de salud duraderos.

Esta sección es un resumen de las reacciones adversas que ocurrieron durante este estudio. Los sitios web que figuran al final de este resumen pueden tener más información sobre estas. Se necesita mucha investigación para saber si un fármaco puede causar un problema médico en particular.

¿Cuántos participantes tuvieron reacciones adversas?

La siguiente tabla muestra cuántos participantes tuvieron reacciones adversas en la **fase principal**.

Reacciones adversas en la fase principal

	De los 11 participantes que recibieron lorcaserina	De 10 participantes que recibieron placebo
¿Cuántos participantes tuvieron reacciones adversas?	3 (27 %)	1 (10 %)
¿Cuántos participantes tuvieron reacciones adversas graves?	0 (0 %)	0 (0 %)
¿Cuántos participantes dejaron de tomar lorcaserina o placebo debido a reacciones adversas?	0 (0 %)	1 (10 %)

La reacción adversa más frecuente en la **fase principal** fue la disminución del apetito, informada por 3 participantes en el grupo de **lorcaserina**.

- Tres (3) participantes en el grupo de lorcaserina también experimentaron 3 reacciones adversas diferentes. Las reacciones adversas fueron dificultad para defecar, sensación de cansancio y falta de energía.
- Un (1) participante del grupo de placebo tuvo 2 reacciones adversas diferentes. Las reacciones adversas fueron convulsiones y sensación de agresividad.

La siguiente tabla muestra cuántos participantes tuvieron reacciones adversas en la **fase de extensión**.

Reacciones adversas en la fase de extensión

	De los 7 participantes que recibieron lorcaserina/ lorcaserina	De los 7 participantes que recibieron placebo/ lorcaserina
¿Cuántos participantes tuvieron reacciones adversas?	0 (0 %)	2 (29 %)
¿Cuántos participantes tuvieron reacciones adversas graves?	0 (0 %)	0 (0 %)
¿Cuántos participantes dejaron de tomar lorcaserina o placebo debido a reacciones adversas?	0 (0 %)	0 (0 %)

Dos (2) participantes en el grupo de **placebo/lorcaserina** tuvieron reacciones adversas. Las reacciones adversas fueron:

- Problemas para caminar.
- Moverse más lentamente de lo habitual.
- Sensación de sed.
- Sensación de sueño.

¿Cómo ha ayudado este estudio a los pacientes e investigadores?

En este estudio, los investigadores obtuvieron más información sobre cómo la lorcaserina puede haber ayudado a las personas con síndrome de Dravet. Los investigadores analizan los resultados de muchos estudios para decidir qué opciones de tratamiento pueden funcionar mejor y son bien toleradas. Este resumen muestra solo los resultados principales de este solo estudio. Otros estudios pueden proporcionar información nueva o resultados diferentes.

No están previstos estudios clínicos adicionales con lorcaserina.

¿Dónde puedo obtener más información sobre el estudio?

Puede encontrar más información sobre este estudio en los sitios web que se enumeran a continuación. Si está disponible un informe completo de los resultados del estudio, también puede encontrarse aquí:

- <http://www.clinicalstudies.gov> : una vez que esté en el sitio web, escriba **NCT04572243** en el cuadro de búsqueda y haga clic en “**Search**” (Buscar).

Título completo del estudio: Estudio multicéntrico, a doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, con grupos paralelos, con fase de extensión abierta, de lorcaserina como tratamiento complementario en sujetos con síndrome de Dravet

Número de protocolo: E2023-A001-304

Eisai, el patrocinador de este estudio, tiene su sede central en Tokio, Japón, y sedes regionales en Nutley, Nueva Jersey, EE. UU., y Hatfield, Hertfordshire, Reino Unido. Los números de teléfono para información general son +1-888-274-2378 (EE. UU.) y +44-845-676-1400 (Reino Unido).

Gracias

Eisai desea agradecerle por su tiempo e interés en participar en este estudio clínico. Su participación ha proporcionado una valiosa contribución a la investigación y a la mejora de la atención médica.



Eisai Co., Ltd. es una compañía farmacéutica global basada en la investigación y el desarrollo con sede central en Japón. Definimos nuestra misión corporativa como “dar la primera opinión a los pacientes y a las personas en el dominio de la vida diaria, y aumentar los beneficios que la atención médica les brinda, así como satisfacer diversas necesidades de atención médica en todo el mundo”, lo que denominamos nuestra filosofía de atención médica humana (*human health care, hhc*). Con más de 10,000 empleados que trabajan en nuestra red global de instalaciones de Investigación y Desarrollo, centros de producción y subsidiarias de comercialización, nos esforzamos por lograr nuestra filosofía *hhc* al ofrecer productos innovadores en múltiples áreas terapéuticas con grandes necesidades médicas insatisfechas, incluidas oncología y neurología. Para obtener más información, visite <http://www.eisai.com>.



Certara es una organización de redacción médica y regulatoria mundial y no participa en el reclutamiento de participantes ni en la realización de estudios clínicos.
Sede central de Certara 4 Radnor Corporate Center Suite 350 Radnor, PA 19087
<https://www.certara.com> • 1-415-237-8272