

# HOJA INFORMATIVA DEL ENSAYO CLÍNICO

ID de ClinicalTrials.gov: **NCT05651932**

**Protocolo del estudio K36-MMSET-001: Ensayo clínico de fase I de KTX-1001, un inhibidor catalítico novedoso y selectivo del MMSET por vía oral que inhibe la H3k36me2 en pacientes con mieloma múltiple resistente y recidivante**

Página 1 de 4

## Descripción:

Un ensayo clínico es un estudio de investigación médica en el que participan personas que se ofrecen voluntarias para probar enfoques científicos con vistas a desarrollar un tratamiento nuevo o un tratamiento combinado. Cada ensayo clínico está diseñado para encontrar mejores formas de prevenir, detectar, diagnosticar o tratar el cáncer, así como para dar respuesta a interrogantes científicos. El estudio K36-MMSET-001 está diseñado para determinar la dosis máxima tolerada (DMT) y el perfil de seguridad de KTX-1001, un fármaco oral en fase de investigación para pacientes con mieloma con opciones de tratamiento limitadas.

## Objetivos:

- **El objetivo principal** de este estudio es determinar el grado de eficacia del fármaco del estudio, la dosis y la pauta posológica, y/o la dosis recomendada de fase II (DRF2) y la pauta posológica de KTX-1001.
- **El objetivo secundario** de este estudio es evaluar cómo afecta KTX-1001 al organismo del paciente (lo que se denomina farmacocinética, o FC).
- **El objetivo exploratorio** de este estudio es evaluar las relaciones entre los marcadores biológicos y la FC, la seguridad y la actividad de KTX-1001.

## Diseño:

El estudio K36-MMSET-001 se divide en dos partes. Los pacientes se inscribirán en una de las partes.

1. **Aumento progresivo de la dosis (Parte 1):** aproximadamente 30 a 40 pacientes recibirán KTX-1001, en distintos niveles de dosis determinados en función de la información de seguridad obtenida durante el estudio. La dosis de KTX-1001 irá aumentando a medida que se sepa más sobre cómo afecta KTX-1001 al organismo.
2. **Expansión de dosis (Parte 2):** unos 20 pacientes recibirán KTX-1001 en la dosis determinada como la más tolerable durante la parte de aumento progresivo de la dosis del estudio.

## Criterios de inclusión:

- 18 años o más.
- Mieloma múltiple resistente y recidivante (MMRR) según los criterios de diagnóstico del International Myeloma Working Group (IMWG).
- Al menos tres líneas de tratamiento previas (pautas de tratamiento con un solo fármaco o politerapia), incluido un inhibidor del proteasoma, un fármaco inmunomodulador o un anticuerpo monoclonal anti-CD38.
- Enfermedad medible, con al menos una de las siguientes características:
  - a. Proteína monoclonal (proteína del mieloma o proteína M)  $\geq 0,50$  g/dL en suero (parte líquida de la sangre en la que se encuentran suspendidos los glóbulos sanguíneos).
  - b. Proteína M  $\geq 200$  mg en orina (muestra de 24 horas).



**International Myeloma Foundation (Fundación Internacional del Mieloma)**

4400 Coldwater Canyon Avenue, Suite 300, Studio City, CA 91604, USA

1.800.452.CURE (EE. UU. y Canadá) 1.818.487.7455 (internacional) • TheIMF@myeloma.org • myeloma.org

# HOJA INFORMATIVA DEL ENSAYO CLÍNICO

ID de ClinicalTrials.gov: **NCT05651932**

## Protocolo del estudio K36-MMSET-001: Ensayo clínico de fase I de KTX-1001, un inhibidor catalítico novedoso y selectivo del MMSET por vía oral que inhibe la H3k36me2 en pacientes con mieloma múltiple resistente y recidivante

Página 2 de 4

- c. Cadena ligera libre en suero (CLLs), cadena ligera implicada  $\geq 10$  mg/dL, o 100 mg/L si la proporción de CLLs es anormal.
- d. **Solo para el aumento progresivo de la dosis (Parte 1):** al menos una lesión extramedular (tumor de células plasmáticas monoclonales en los tejidos blandos fuera de la médula ósea y separado del hueso), incluida al menos una lesión que tenga un tamaño de 1 cm o más.
- e. **Solo para el aumento progresivo de la dosis (Parte 1):** 10 % o más de células plasmáticas de la médula ósea.
- **Solo para la expansión de la dosis (Parte 2):** debe tener una anomalía genética t(4;14,) en la que partes de los cromosomas 4 y 14 se traslocan (reordenan), se escribe con una "t" minúscula seguida del número de los cromosomas con material genético traslocado.

### Pauta posológica del estudio:

- Período de selección de hasta 28 días.
- Los ciclos de tratamiento serán de 28 días. Los participantes tomarán KTX-1001 por vía oral dos veces al día, en su casa.
- Se recogerán muestras de farmacocinética (FC) y farmacodinámica (FD, la respuesta biológica del cuerpo) varias veces durante el Ciclo 1 y posteriormente una sola vez durante el Ciclo 2 y los siguientes.
- Se evaluará a los pacientes con aumento progresivo de la dosis (Parte 1) para detectar toxicidad limitante de dosis (TLD), efectos secundarios lo suficientemente graves como para no administrar más tratamiento durante el Ciclo 1.
- Los pacientes con expansión de dosis recibirán un nivel de dosis ya evaluado durante la fase de aumento progresivo de la dosis para definir mejor la seguridad y tolerabilidad de KTX-1001, además de proporcionar información preliminar sobre su eficacia.
- Visita de fin de tratamiento.
- Visita postratamiento 30 días después de la última dosis de KTX-1001.
- Visitas de seguimiento por teléfono cada 3 meses hasta que transcurran 2 años.

Los participantes del ensayo clínico irán al centro de investigación cada semana durante el Ciclo 1 y luego en semanas alternadas durante el Ciclo 2, tras lo cual se realizarán visitas el día 1 de cada ciclo siguiente hasta la visita de fin de tratamiento.

### Consentimiento informado:

Un médico debe facilitar al paciente información sobre el ensayo clínico para que este último pueda tomar una decisión informada sobre si desea participar en el estudio. Además, el médico debe explicar todos los procedimientos y hablar de los riesgos y beneficios, así como las alternativas de tratamiento.

**International Myeloma Foundation (Fundación Internacional del Mieloma)**

4400 Coldwater Canyon Avenue, Suite 300, Studio City, CA 91604, USA

1.800.452.CURE (EE. UU. y Canadá) 1.818.487.7455 (internacional) • TheIMF@myeloma.org • myeloma.org

# HOJA INFORMATIVA DEL ENSAYO CLÍNICO

ID de ClinicalTrials.gov: [NCT05651932](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05651932)

**Protocolo del estudio K36-MMSET-001: Ensayo clínico de fase I de KTX-1001, un inhibidor catalítico novedoso y selectivo del MMSET por vía oral que inhibe la H3k36me2 en pacientes con mieloma múltiple resistente y recidivante**

Página 3 de 4

## Centros donde se inscriben pacientes:

### Estados Unidos

#### Arizona Mayo Clinic Hospital – Phoenix

Peter Bergsagel, MD +1-855-776-0015 [bergsagel.leif@mayo.edu](mailto:bergsagel.leif@mayo.edu)  
Daniel Duarte +1-855-776-0015 [duarte.daniel@mayo.edu](mailto:duarte.daniel@mayo.edu)

#### Arkansas UAMS Winthrop P. Rockefeller Cancer Institute – Little Rock [pendiente]

Sharmilan Thanendrarajan, MD [sthanendrarajan@uams.edu](mailto:sthanendrarajan@uams.edu)

#### California University of California San Francisco (UCSF) Medical Center

Alfred Chung, MD +1-415-353-8467 [alfred.chung@ucsf.edu](mailto:alfred.chung@ucsf.edu)  
Benjamin Sun +1-415-476-9608 [benjamin.sun@ucsf.edu](mailto:benjamin.sun@ucsf.edu)

#### Florida Mayo Clinic Hospital – Jacksonville

Vivek Roy, MD +1-855-776-0015 [roy.vivek@mayo.edu](mailto:roy.vivek@mayo.edu)  
Justin Guidry +1-855-776-0015 [guidry.justin@mayo.edu](mailto:guidry.justin@mayo.edu)

#### Florida University of Miami Don Soffer Clinical Research Center [pendiente]

Carl Ola Landgren, MD, PhD [col15@miami.edu](mailto:col15@miami.edu)  
Michelle Armogan +1-305-243-7479 [mda182@med.miami.edu](mailto:mda182@med.miami.edu)

#### Georgia The Winship Cancer Institute of Emory University – Atlanta

Sagar Lonial, MD +1-404-778-1900 [sloni01@emory.edu](mailto:sloni01@emory.edu)  
Hafsa Ahmed +1-404-778-2164 [hafsa.maheen.ahmed@emory.edu](mailto:hafsa.maheen.ahmed@emory.edu)

#### Kansas University of Kansas Cancer Center – Fairway

Al-Ola Abdallah, MD +1-918-261-6196 [aabdallah@kumc.edu](mailto:aabdallah@kumc.edu)  
Lisa Bogart +1-913-945-7538 [lbogart3@kumc.edu](mailto:lbogart3@kumc.edu)

#### Massachusetts Massachusetts General Hospital – Boston

Andrew Yee, MD +1-614-724-4000 [ayee1@mgh.harvard.edu](mailto:ayee1@mgh.harvard.edu)  
Alicia Marggraf +1-617-724-7319 [amarggraf@mgh.harvard.edu](mailto:amarggraf@mgh.harvard.edu)

#### Minnesota Clínica Mayo – Rochester

David Dingli, MD, PhD +1-855-776-0015 [dingli.david@mayo.edu](mailto:dingli.david@mayo.edu)  
Thomas Nelson +1-855-776-0015 [nelson.thomas2@mayo.edu](mailto:nelson.thomas2@mayo.edu)

#### Nueva Jersey Hackensack University Medical Center

David S. Siegel, MD, PhD +1-551-996-8704 [davids.siegel@hmn.org](mailto:davids.siegel@hmn.org)  
Adolfo Aleman +1-551-996-8176 [adolfo.aleman@hmn.org](mailto:adolfo.aleman@hmn.org)

#### Nueva York Memorial Sloan Kettering Cancer Center – Ciudad de Nueva York

Saad Usmani, MD +1-646-608-4165 [usmanis@mskcc.org](mailto:usmanis@mskcc.org)  
Leah Gilbert +1-646-608-3915 [gilbertl@mskcc.org](mailto:gilbertl@mskcc.org)

#### Carolina del Norte Duke University Hospital – Durham

Cristina Gasparetto, MD +1-919-668-8222 [gaspa001@mc.duke.edu](mailto:gaspa001@mc.duke.edu)  
Heather Griffith +1-919-668-1026 [heather.griffith@duke.edu](mailto:heather.griffith@duke.edu)

#### Tennessee Sarah Cannon Research Institute at Tennessee Oncology – Nashville

Jesús Berdeja, MD +1-615-320-5090 [jberdeja@tnonc.com](mailto:jberdeja@tnonc.com)  
Sarah Ladd +1-615-524-4133 [sarah.ladd@sarahcannon.com](mailto:sarah.ladd@sarahcannon.com)

#### Texas University of Texas Southwestern Simmons Cancer Center – Dallas

Aimaz Afrough, MD +1-214-645-4673 [aimaz.afrough@utsouthwestern.edu](mailto:aimaz.afrough@utsouthwestern.edu)  
Silviya Meletath +1-909-560-9597 [silviya.meletath@utsouthwestern.edu](mailto:silviya.meletath@utsouthwestern.edu)

**International Myeloma Foundation (Fundación Internacional del Mieloma)**

4400 Coldwater Canyon Avenue, Suite 300, Studio City, CA 91604, USA

1.800.452.CURE (EE. UU. y Canadá) 1.818.487.7455 (internacional) • [TheIMF@myeloma.org](mailto:TheIMF@myeloma.org) • [myeloma.org](http://myeloma.org)

# HOJA INFORMATIVA DEL ENSAYO CLÍNICO

ID de ClinicalTrials.gov: [NCT05651932](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05651932)

**Protocolo del estudio K36-MMSET-001: Ensayo clínico de fase I de KTX-1001, un inhibidor catalítico novedoso y selectivo del MMSET por vía oral que inhibe la H3k36me2 en pacientes con mieloma múltiple resistente y recidivante**

Página 4 de 4

## Canadá

### **Ontario** Princess Margaret Cancer Centre – Toronto

Suzanne Trudel, MSc, MD

[suzanne.trudel@uhn.ca](mailto:suzanne.trudel@uhn.ca)

Saima Dean

+1-416-946-4501 int. 5241

[saima.dean@uhnresearch.ca](mailto:saima.dean@uhnresearch.ca)

## Francia

### **Nantes** Centre Hospitalier Universitaire (CHU) de Nantes – Hôtel-Dieu

Cyril Touzeau, MD

+332-40-08-40-29

[cyrille.touzeau@chu-nantes.fr](mailto:cyrille.touzeau@chu-nantes.fr)

Laetitia Mallard

+332-40-08-32-14

[laetitia.mallard@chu-nantes.fr](mailto:laetitia.mallard@chu-nantes.fr)

### **Toulouse** Institut Universitaire du Cancer de Toulouse (IUCT) Oncopole

Pierre Bories, MD, PhD

+335-31-15-65-14

[bories.pierre@iuct-oncopole.fr](mailto:bories.pierre@iuct-oncopole.fr)

Alicia Pérez

[perez.alicia@iuct-oncopole.fr](mailto:perez.alicia@iuct-oncopole.fr)

## España

### **Barcelona** Hospital Clínic de Barcelona

Laura Rosiñol, MD, PhD

+34-932-279-219

[lrosinol@clinic.cat](mailto:lrosinol@clinic.cat)

Verónica Martil

+34-932-279-219

[martil@clinic.cat](mailto:martil@clinic.cat)

### **Navarra** Clínica Universidad de Navarra

Paula Rodríguez, MD, PhD

+34-94825-5400

[paurodriguez@unav.es](mailto:paurodriguez@unav.es)

Joana Sofia Reis de Carvalho

+34-94825-5400

[jreis@unav.es](mailto:jreis@unav.es)

### **Salamanca** Instituto de Investigación Biomédica de Salamanca (IBSAL)

María-Victoria Mateos Manteca, MD, PhD

+34-92329-1100 int. 56933

[mvmateos@usal.es](mailto:mvmateos@usal.es)

Magdalena García Astorga

+34-92329-1100 int. 55318

[mgarcia.ibsal@saludcastillayleon.es](mailto:mgarcia.ibsal@saludcastillayleon.es)



**International Myeloma Foundation (Fundación Internacional del Mieloma)**

4400 Coldwater Canyon Avenue, Suite 300, Studio City, CA 91604, USA

1.800.452.CURE (EE. UU. y Canadá) 1.818.487.7455 (internacional) • [TheIMF@myeloma.org](mailto:TheIMF@myeloma.org) • [myeloma.org](http://myeloma.org)