

## ENSAYOS CLÍNICOS PARA TUMORES HEMATOLÓGICOS

### LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA

<u>Nombre del Ensayo Clínico</u>	<u>Terapia en investigación</u>	<u>Tipo de patología</u>
<b>Estudio internacional para el tratamiento de la LLA infantil recidivante de alto riesgo. Estudio aleatorizado de fase II realizado por el Comité de Enfermedades Resistentes del Grupo Internacional de Estudio de BFM (IntReALL HR 2010)</b>	Bortezomib (Inhibidor proteasoma) + quimioterapia	Leucemia linfoblástica aguda (LLA) en primera recaída de alto riesgo
<b>Estudio de fase 1b/2 de Carfilzomib en combinación con quimioterapia de inducción en niños con leucemia linfoblástica aguda en recaída o refractaria.</b>	Carfilzomib (Inhibidor proteasoma + quimioterapia)	LLA en recaída o refractaria tras haber recibido inmunoterapia
<b>Estudio fase I/II de Inotuzumab Ozogamicin como agente único y en combinación con quimioterapia para Leucemia Linfoblástica Aguda pediátrica CD22-positiva en recaída/refractaria (ITCC-059)</b>	Inotuzumab (Anti CD22 Monoterapia)	LLA-B en primera recaída de muy alto riesgo o con factores de mal pronóstico
<b>Estudio prospectivo, randomizado, abierto, Fase 2, para evaluar la superioridad de Inotuzumab Ozogamicina en monoterapia versus ALLR3 para el tratamiento de inducción en niños con Leucemia Linfoblástica Aguda de precursores B en primera recaída de alto riesgo.</b>	Inotuzumab (anti CD22) vs quimioterapia ALLR3	LLA-B en primera recaída de alto riesgo
<b>EsPhALL: Ensayo internacional fase 3 en leucemia linfoblástica aguda con cromosoma Filadelfia positivo (LLA Ph+) en el que se prueba Imatinib en combinación con dos quimioterapias citotóxicas diferentes.</b>	Imatinib (Inhibidor de tirosin kinasa) + Quimioterapia	LLA Ph+ o LLA Ph like en primera línea de tratamiento
<b>Estudio abierto, de un solo brazo, de fase 1/2 que evalúa la seguridad y eficacia de Ponatinib para el</b>	Ponatinib para LLA Ph+ (Inhibidor de tirosin kinasa + quimioterapia)	LLA Ph+ y Ph like, en recaída o refractariedad o

tratamiento de leucemias o tumores sólidos recurrentes o refractarios en participantes pediátricos.		intolerancia a primera línea de ITK LLA Ph+ con mutación T315I en primera línea o recaídas.
Estudio multicéntrico, abierto, multibrazo, de fase I/II que evalúa la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y actividad preliminar de Idasanutlin en combinación con quimioterapia o Venetoclax en el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos jóvenes con leucemias agudas en recaída/refractarias o tumores sólidos.	Idasanutlin (Inhibidor MDM2) en combinación con venetoclax o quimioterapia	LLA en recaída/refractaria
Estudio de fase 2 de la infusión de células T autólogas, diferenciadas y de sangre periférica expandidas y transducidas con un lentivirus para expresar un receptor de antígeno quimérico con especificidad anti-CD19 (A3B1) junto con regiones coestimuladoras 4-1BB y CD3z (ARI-0001 células) en niños y adolescentes (de 0 a 18 años) con leucemia linfoblástica aguda CD19+ resistente o refractaria al tratamiento.	ARI-0001 (CART19-BE-03Ped)	LLA-B CD19+ en recaída

## LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA

<u>Nombre del Ensayo Clínico</u>	<u>Terapia en investigación</u>	<u>Tipo de patología</u>
NOPHO-DBH AML 2012: Estudio de investigación para el tratamiento de niños y adolescentes con leucemia mieloide aguda de 0 a 18 años	Tratamiento según el grupo de riesgo en el que se encuadre el paciente	Leucemia mieloide aguda (LMA) de nuevo diagnóstico
Estudio de fase 1/2, multicéntrico, de escalada de dosis, para evaluar la seguridad, farmacocinética, farmacodinámica y eficacia de Quizartinib administrado en combinación con quimioterapia de	Quizartinib (Inhibidor de FLT3) + Quimioterapia	LMA con mutación en FLT3+ en recaída o refractaria

reinducción, y como terapia de continuación de agente único, en sujetos pediátricos con LMA con mutaciones FLT3-ITD en recaída/refractario, con edades comprendidas entre 1 mes y <18 años (y adultos jóvenes de hasta 21 años).		
Un estudio de fase Ib de Vyxeos (daunorrubicina liposomal y citarabina) en combinación con clofarabina en niños con LMA en recaída/refractaria (ITCC-092).	Vyxeos (daunorrubicina liposomal y citarabina) en combinación con clofarabina	LMA en recaída o refractaria
Ensayo aleatorizado de fase 3 de Fludarabina/Citarabina/Gemtuzumab ozogamicina con o sin Venetoclax en niños con LMA recidivante	Fludarabina + citarabina +/- gemtuzumab con o sin venetoclax	LMA en recaída o refractaria
Estudio multicéntrico, abierto, multibrazo, de fase I/II que evalúa la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y actividad preliminar de Idasanutlin en combinación con quimioterapia o Venetoclax en el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos jóvenes con leucemias agudas en recaída/refractarias o tumores sólidos.	Idasanutlin (Inhibidor MDM2) con venetoclax o quimioterapia	LMA en recaída/refractaria

## LEUCEMIA MIELOIDE CRÓNICA

<u>Nombre del Ensayo Clínico</u>	<u>Terapia en investigación</u>	<u>Tipo de patología</u>
Estudio abierto, de un solo brazo, de fase 1/2 que evalúa la seguridad y eficacia de Ponatinib para el tratamiento de leucemias o tumores sólidos recurrentes o refractarios en participantes pediátricos.	Ponatinib (Inhibidor de tirosin kinasa)	Leucemia mioide crónica de nuevo diagnóstico
Estudio de Fase I/II de Bosutinib en pacientes pediátricos con leucemia mioide crónica en fase crónica o resistentes/intolerantes.	Bosutinib (Inhibidor de tirosin kinasa)	Leucemia mioide crónica en primera línea o resistente o intolerante a un ITK previo

## LINFOMAS

<u>Nombre del Ensayo Clínico</u>	<u>Terapia en investigación</u>	<u>Tipo de patología</u>
<b>LBL-2018: Protocolo cooperativo internacional de tratamiento para niños y adolescentes con linfoma linfoblástico.</b>	Tratamiento según el grupo de riesgo en el que se encuadre el paciente	Linfoma linfoblástico de nuevo diagnóstico
<b>Estudio fase 1b, abierto, de un solo brazo de tratamiento con Epcoritamab en pacientes pediátricos con neoplasias de células B maduras recidivantes/refractarias.</b>	Epcoritamab (anticuerpo biespecífico CD20-CD3)	Linfoma no Hodgkin (LNH) de células B maduras en recaída o refractariedad, o en remisión completa que no se puedan someter a consolidación con terapia celular
<b>Ensayo de fase I/II, abierto, de un solo brazo y en dos partes para evaluar la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y actividad antitumoral de Glofitamab en monoterapia y en combinación con quimioinmunoterapia en participantes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma no Hodgkin de células B maduras en recaída/refractario.</b>	Glofitamab (anticuerpo biespecífico CD20-CD3) en combinación con quimioterapia	LNH B en recaída o refractariedad
<b>Un estudio de fase 1/2 sobre la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y eficacia preliminar de Relatlimab más Nivolumab en participantes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma de Hodgkin clásico recurrente o refractario y linfoma no Hodgkin.</b>	Nivolumab-Relatlimab (antiPD1 y antiLAG3)	Linfoma Hodgkin (LH) y LNH en recaída o refractariedad
<b>Estudio fase I/II de Inotuzumab Ozogamicin como agente único y en combinación con quimioterapia para Leucemia Linfoblástica Aguda pediátrica CD22-positiva en recaída/refractaria (ITCC-059)</b>	Inotuzumab (Anti CD22)	LNH B (CD22 +) en recaída o refractario a dos líneas de tratamiento.
<b>Estudio fase1B de Crizotinib en combinación o como agente único en pacientes pediátricos con</b>	CRISP (Crizotinib en combinación con	Cohorte 1b: Linfoma anaplásico de células grandes (ALCL) ALK+ en

<p><b>neoplasias malignas ALK, ROS1 o MET positivas. (ITCC 053)</b></p>	<p>quimioterapia o en monoterapia)</p>	<p>recaída/refractario: Crizotinib 2) Neuroblastoma y RMS ALK+/MET+ en recaída/ Refractarios: Crizotinib + Temsirolimus 3) Otros tumores sólidos ALK+/ROS+/MET+ en recaída/refractarios o tumor Miofibroblástico ALK+ de nuevo diagnóstico: Crizotinib</p>
<p><b>Estudio fase I/II de Brigatinib en pacientes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma anaplásico de células grandes ALK+, tumores miofibroblásticos inflamatorios u otros tumores sólidos (ITCC-098).</b></p>	<p>Brigatinib (Inhibidor de ALK)</p>	<p>Tumores sólidos intra y extracraneales y linfomas ALK+ en recaída o refractarios o Tumor miofibroblástico ALK+ de nuevo diagnóstico</p>