

Prospective study on safety and efficacy of gene therapy with voretigene neparvovec (Luxturna®) in patients with RPE65-associated inherited retinal degenerations

Gepubliceerd: 26-02-2021 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Voretigene neparvovec (Luxturna®) improves visual function.

Ethische beoordeling	Positief advies
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON22976

Bron

NTR

Verkorte titel

Luxturna® Follow Up

Aandoening

RPE65-associated inherited retinal degenerations (IRDs).

Ondersteuning

Primaire sponsor: The Rotterdam Eye Hospital

Overige ondersteuning: Stichting Wetenschappelijk Onderzoek Het Oogziekenhuis – Prof. dr. H.J. Flieringa

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Full-field stimulus testing (FST) at 1 year.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Rationale: RPE65-associated inherited retinal degenerations (IRDs) are rare, and account for 5–10% of all autosomal recessive childhood-onset IRDs. Visual function of these patients can vary early in life, but inevitably deteriorates towards blindness. Gene therapy with voretigene neparvovec (Luxturna®) was approved by the US Food and Drug Administration (FDA) in 2017 and by the European Medicines Agency (EMA) in 2018.

Objective: To collect long-term, real world data on safety and efficacy of gene therapy with voretigene neparvovec (Luxturna®).

Study design: Multi-center prospective, observational study; follow-up (FU): 5 years.

Study population: Patients with bi-allelic RPE65 mutations treated with voretigene neparvovec.

Intervention: The treatment with voretigene neparvovec itself is not considered as an intervention for the purpose of this study.

Main study parameters/endpoints: Full-field stimulus testing (FST) at 1 year.

Doel van het onderzoek

Voretigene neparvovec (Luxturna®) improves visual function.

Onderzoeksopzet

Baseline, day 30, 90, 180, and year 1 to 5.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Treatment with voretigene neparvovec is not considered as an intervention for the purpose of this study.

Contactpersonen

Publiek

Het Oogziekenhuis Rotterdam / Rotterdams Oogheelkundig Instituut
Rene Wubbels

010 4023430

Wetenschappelijk

Het Oogziekenhuis Rotterdam / Rotterdams Oogheelkundig Instituut
Rene Wubbels

010 4023430

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Be able to cooperate.
- Informed consent.
- Clinical diagnosis of IRD with confirmed bi-allelic RPE65 mutations.
- Clinical evidence of viable retinal tissue (RPE cells, photoreceptors, and downstream ganglion cells) as target. Patients have to have more than one characteristic:
 1. total retinal thickness > 100 µm in the posterior pole (OCT).
 2. area without atrophy of at least three disc diameters (funduscopy).
 3. residual island in the central visual field (within 30° of central fixation; Goldmann).
- Recordable FST.
- Scheduled to receive treatment with Luxturna®.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- None specified.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	N.v.t. / één studie arm
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	N.v.t. / onbekend

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	22-03-2021
Aantal proefpersonen:	20
Type:	Verwachte startdatum

Voornemen beschikbaar stellen Individuele Patiënten Data (IPD)

Wordt de data na het onderzoek gedeeld: Nog niet bepaald

Ethische beoordeling

Positief advies	
Datum:	26-02-2021
Soort:	Eerste indiening

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

ID: 50929
Bron: ToetsingOnline
Titel:

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL9321
CCMO	NL76234.000.21
OMON	NL-OMON50929

Resultaten