

GBA-PD Patient Imaging study of LTI-291 versus placebo.

Gepubliceerd: 30-05-2018 Laatste bijgewerkt: 18-08-2022

Ethische beoordeling	Positief advies
Status	Werving gestopt
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON24854

Bron

Nationaal Trial Register

Aandoening

Parkinson's disease

Ondersteuning

Primaire sponsor: Lysosomal Therapeutics Inc.

Overige ondersteuning: Lysosomal Therapeutics Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

To evaluate the safety and tolerability of two oral dose levels of LTI-291 (10 and 60 mg) following 28 days of treatment in patients with GBA-PD.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Background of the study: LTI-291 is a new compound that may eventually be used for the treatment of patients with Parkinson's disease who have a GBA1 mutation. LTI-291 is an activator of an enzyme named glucocerebrosidase (GCase). Everyone has this enzyme, but

studies have shown that in a subgroup of patients with Parkinson's disease who have a mutation in a specific gene called

glucocerebrosidase 1 (GBA1), there is a deficiency of GCase which results in build-up of certain substrates of this enzyme

in the cells. LTI-291 acts by increasing the activity of the enzyme GCase to a normal level and thus leads to a decrease in

the build-up of substrates.

Objective of the study:

This study will be performed in patients with Parkinson's disease who have a GBA1 mutation.

The purpose of this study is to investigate how safe the new compound LTI-291 is and how well it is tolerated when it is

administered to patients with Parkinson's disease. It will also be investigated how quickly and to what extent LTI-291 is

absorbed and eliminated from the body (this is called pharmacokinetics). In addition, the effect of LTI-291 on the body (on

the brain and on certain biomarkers in the blood) will be investigated (this is called pharmacodynamics). LTI-291 will be compared with a placebo.

Onderzoeksopzet

28 days.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Multiple doses of LTI-291 10 or 60 mg once daily for 28 days.

Contactpersonen

Publiek

Dana Hilt
[default]
The Netherlands
+1-617 714 9889

Wetenschappelijk

Dana Hilt
[default]
The Netherlands
+1-617 714 9889

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Mannelijke of vrouwelijke vrijwilliger; ziekte van Parkinson met een GBA1 mutatie; minimaal 18 jaar; BMI 18.0 - 35.0 (kilogram/meter²); gewicht minstens 45 kilogram.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Lijdend aan hepatitis B, diabetes, hepatitis C, kanker of HIV/AIDS. Indien gedurende de 90 dagen voorafgaand aan de start van dit onderzoek aan een ander geneesmiddelenonderzoek is deelgenomen. Indien gedurende de 60 dagen voor start van dit onderzoek bloed is gegeven.

Onderzoekopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind

Controle: Placebo

Deelname

Nederland
Status: Werving gestopt
(Verwachte) startdatum: 05-06-2018
Aantal proefpersonen: 15
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Positief advies
Datum: 30-05-2018
Soort: Eerste indiening

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL7061
NTR-old	NTR7299
Ander register	LSO882EC-178821 : LTI-291-004

Resultaten