

The effect of Ivacaftor in CF patients with a class III mutation

Gepubliceerd: 30-10-2014 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Treatment with Ivacaftor can lead to a therapeutic level of restoration of the CFTR protein channel activity in patients with a class III, S1251N gating mutation. This level of restoration is comparable to a combination of the natural food...

Ethische beoordeling	Niet van toepassing
Status	Werving gestopt
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON26309

Bron

Nationaal Trial Register

Verkorte titel

TICTAC-2

Aandoening

Cystic Fibrosis (CF)

Ondersteuning

Primaire sponsor: University Medical Center Utrecht (UMCU)

Overige ondersteuning: 1. ZON-MW, The Netherlands Organization for Health Research and Development

2. The NCFS, patient association of CF patients, The Netherlands.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Sweat chloride concentration (SCC) before and after treatment with Ivacaftor.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

In the Netherlands, the CFTR potentiator-drug Ivacaftor will be approved for the treatment of CF patients with a (class III) gating mutation, probably by the end of 2014. Primary objective is to objectively investigate the therapeutic potential of Ivacaftor in Dutch CF patients carrying the S1251N gating mutation. Children, adolescents and adults with Cystic Fibrosis who are indicated to start with Ivacaftor (6 years or older and have a compound/S1251N class III gating mutation) can participate in this multi center observational study. Main study parameter will be sweat chloride concentration before and after treatment with Ivacaftor.

Doel van het onderzoek

Treatment with Ivacaftor can lead to a therapeutic level of restoration of the CFTR protein channel activity in patients with a class III, S1251N gating mutation. This level of restoration is comparable to a combination of the natural food components curcumin and genistein. Measurements in vitro (in organoids) can predict the individual treatment efficacy of Ivacaftor.

Onderzoeksopzet

Before and after treatment with Ivacaftor.

Onderzoeksproduct en/of interventie

This study will be an observational study. We will observe the intervention of starting with a treatment with Ivacaftor.

Contactpersonen

Publiek

Wilhelmina Kinderziekenhuis
Huispostnummer KH 01.419.0
Postbus 85090
S. Michel
Utrecht 3508 AB

The Netherlands
+31 (0)88 75 537 25

Wetenschappelijk

Wilhelmina Kinderziekenhuis
Huispostnummer KH 01.419.0
Postbus 85090
S. Michel
Utrecht 3508 AB
The Netherlands
+31 (0)88 75 537 25

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- CFTR genotype compound/ S1251N
- Already had a rectal biopsy to produce an organoid
- Start a treatment with Ivacaftor
- Male and female patients, aged 6 years or older on the date of informed consent or;
- Signed informed consent form (IC).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Use of curcumin and or genistein at start or within two weeks prior to start of the study;
- Inability to follow instructions of the investigator.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	01-12-2014
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Niet van toepassing	
Soort:	Niet van toepassing

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

ID: 41740
Bron: ToetsingOnline
Titel:

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL4728
NTR-old	NTR4873

Register

CCMO

OMON

ID

NL50276.041.14

NL-OMON41740

Resultaten