

Een Open Label Onderzoek met AMG 531 voor zeer moeilijk te genezen thrombocytopenische patiënten met Immunologisch (idiopathische) Thrombocytopenische Purpura (ITP)

Gepubliceerd: 18-02-2008 Laatst bijgewerkt: 10-05-2024

Primair: Het aantonen van de veiligheid van AMG 531 in zeer moeilijk te genezen thrombocytopenische patiënten met ITP.Secondair: Het volgen van hematologische reacties op AMG 531 Het mogelijk maken van open-label gebruik van AMG 531 en het...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Plaatjesaandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON31615

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Trombocytopenie bij patiënten met ITP

Aandoening

- Plaatjesaandoeningen

Synoniemen aandoening

Immunologisch (idiopathische) Thrombocytopenische Purpura

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Amgen

Overige ondersteuning: Amgen

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: AMG 531, Fase II, Immune Thrombocytopenische Purpura

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De mate waarin nadelige effecten optreden; waaronder klinisch significante veranderingen in laboratoriumwaarden en de mate van optreden van antilichaamvorming.

Secundaire uitkomstmaten

De mate van optreden van reactie van bloedplaatjes. Een reactie van bloedplaatjes wordt gedefiniëerd als een verdubbeling van basislijn telling van bloedplaatjes en een telling van bloedplaatjes gelijk aan of groter dan $50 \times 10^9/L$.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het 20040209 onderzoek is sinds 2004 in de US uitgevoerd als een protocol voor uitzonderlijke patiënten. Momenteel wordt het onderzoek in 23 plaatsen uitgevoerd en er zijn in totaal 38 patiënten ingesloten.

Vanwege een toenemend aantal verzoeken naar AMG 531 van deskundigen uit de gezondheidszorg voor de behandeling van zeer moeilijk te genezen ITP-individueen, is het protocol geamendeerd zodat ook andere landen aan dit onderzoek kunnen meedoen (Europa en Australië). Het protocol is ontwikkeld om aan de vraag van open label AMG 531 te kunnen voldoen voor ernstige thrombocytopenische patiënten met ITP die moeilijk te genezen zijn met andere behandelingen en/ of zich niet kunnen kwalificeren voor lopende AMG 531 ITP studies. Het protocol zal voor ons beter inzicht geven in de behandeling van

AMG 531 bij patiënten met zeer moeilijk te behandelen thrombocytopenie.

Doel van het onderzoek

Primair:

Het aantonen van de veiligheid van AMG 531 in zeer moeilijk te genezen thrombocytopenische patiënten met ITP.

Secondair:

Het volgen van hematologische reacties op AMG 531

Het mogelijk maken van open-label gebruik van AMG 531 en het onderzoeken van de toediening van AMG 531 bij zeer moeilijk te genezen thrombocytopenische patiënten met ITP die zich niet kwalificeren voor enige lopende ITP studie

Onderzoeksopzet

Dit protocol maakt het gebruik van open label AMG 531 mogelijk voor ernstig thrombocytopenische patiënten met ITP die moeilijk te genezen zijn met andere behandelingen, en die zich niet kwalificeren voor lopende AMG 531 ITP studies. Dit protocol zal ons inzicht verruimen in AMG 531 bij ITP patiënten met zeer moeilijk te genezen thrombocytopenie. Alle patiënten zullen dit onderzoek beginnen met een beginnende dosering van 3 microgram per kilogram. AMG 531 zal eenmaal per week via subcutane injectie worden toegediend. De aanpassing van de dosering zal worden gebaseerd op tellingen van bloedplaatjes en zal op elk moment gedurende het onderzoek mogelijk worden gemaakt (zie de tabel voor aanpassing van de dosering in sectie 6.2). Reddende behandelingen worden op elk moment gedurende het onderzoek mogelijk gemaakt. Verlaging van dosering van verschillende behandelingen kunnen zich op elk moment voordoen wanneer tellingen van de bloedplaatje groter zijn dan $50 \times 10^9/L$. Een afsluitende visite aan het einde van het onderzoek moet voor alle patiënten die vroegtijdig het onderzoek voltooien of stoppen worden volbracht.

Onderzoeksproduct en/of interventie

AMG 531 zal worden toegediend in een beginnende dosering van 3 microgram per kilogram. Aanpassing van de dosering zal worden beheerst door de volgende regels: Tellingen van bloedplaatjes ($\times 10^9/L$) van minder dan 200: dosering kan wekelijks worden aangepast (verhoogd of verlaagd) naar de oordeelkundigheid van de onderzoeker Groter of gelijk aan 200-450: de huidige dosering wordt behouden, of neemt wekelijks af zoals bepaald door de oordeelkundigheid van de onderzoekers Groter dan 450: de volgende ingeplande dosering wordt teruggetrokken. Dosering zal worden verlaagd op de volgende ingeplande doseringsdag dat de $L \setminus$ telling van bloedplaatjes minder is dan $200 \times 10^9/liter$.

Inschatting van belasting en risico

Niet van toepassing

Contactpersonen

Publiek

Amgen

Minervum 7061
4800DH Breda
NL

Wetenschappelijk

Amgen

Minervum 7061
4800DH Breda
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Insluitingscriteria:

- * De patiënt is * 18 jaar oud
- * Patiënt waarbij diagnose immunologische (idiopathische) thrombocytopenische purpura is gesteld, zoals bepaald volgens de richtlijnen van de American Society of Hematology (zie Appendix B)
- * Patiënt heeft een beenmergbiopsie en verwijdering door opzuigen die consistent is met ITP ondergaan binnen 2 jaar van de screening

- * Telling van bloedplaatjes van de patiënt is $\geq 20 \times 10^9/L$ of de patiënt heeft bloedingen die niet worden gecontroleerd met gebruikelijke therapieën
- * De patiënt heeft geen succes ondervonden van ten minste 3 gebruikelijke therapieën voor ITP en, volgens de mening van de behandelende onderzoeker is het onwaarschijnlijk dat er zal worden gereageerd op andere beschikbare therapieën.
- * Indien de patiënt een geschiedenis heeft van atriale fibrillatie of de patiënt krijgt momenteel anti-coagulatie medicatie.
- * De patiënt is bereid en in staat om schriftelijk toestemming te geven.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Uitsluitingscriteria:

- * Patiënt heeft in het verleden een arteriële thrombose (bijvoorbeeld, cerebrovasculaire aandoening, kortstondige ischemie aanval, myocardiaal infarct) gehad.
- * Bekend met aderijske thrombose (bijvoorbeeld, diepe ader thrombose, pulmonaire embolie).
- * Patiënt heeft een geschiedenis van menselijk immunodeficiëntievirus, hepatitis B virus, hepatitis C virus, of elke andere systemische infectieuze ziekte waarvan bekend is dat deze ernstige thrombocytopenie veroorzaakt.
- * Patiënt heeft in het verleden uitgezaaide intravasculaire coagulatie of onderliggend hypercoaguleerbaar stadium gehad.
- * Patiënt heeft een geschiedenis van een van de volgende auto-immuunafwijkingen: systemische lupus, erythematoze, syndroom van Evans, auto-immune neutropenie, lupus anticoagulant of antifosfolipide antilichaam syndroom, of actieve vasculitis gehad.
- * Patiënt heeft een geschiedenis van microangiopathische hemolytische anemie (dat wil zeggen, hemolytisch uremisch syndroom, trombose thrombocytopenische purpura).
- * Patiënt heeft actieve lymfoproliferatieve of immunoproliferatieve (monoklonaal gammopathie van onbepaalde significantie, meervoudig myeloom) afwijking of leukemie.
- * Patiënt heeft een geschiedenis van een myeloproliferatieve afwijking (bijvoorbeeld, myelofibrose, chronische myelogene leukemie).
- * Patiënt heeft myelodysplastisch syndroom.
- * Patiënt is in het verleden blootgesteld aan mutagene chemotherapie ofwel dysplastische cytologische materialen ofwel abnormale cytogenetische eigenschappen zoals gevonden na beenmergonderzoek.
- * Patiënt heeft een geschiedenis van paroxysmale nocturnale hemoglobininurie.
- * Patiënt heeft deelgenomen aan een onderzoek waarin PEGrHuMGDF, recombinant menselijk thrombopoietine (rHuTPO), of een verwant bloedplaatjesproduct zijn geëvalueerd.
- * Patiënt is bekend met een hypergevoeligheid voor elk recombinant van E. coli afgeleid product.
- * Patiënt heeft een therapeutisch geneesmiddel of een middel ontvangen dat niet is goedgekeurd door de lokale regulerende gezondheidsinstelling voor een indicatie binnen 4 weken van de screening.
- * Patiënt heeft het vermogen om zich voor te planten en gebruikt volgens de beoordeling van de onderzoeker geen toereikende contraceptieve voorzorgsmaatregelen.
- * Patiënt is zwanger of geeft borstvoeding.

*Onderzoeker heeft zorgen omtrent het vermogen van de patiënt zich te onderwerpen aan de procedures van het protocol.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	20-05-2008
Aantal proefpersonen:	20
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-02-2008
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-02-2008
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 05-08-2008
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 16-10-2008
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 13-01-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 15-01-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 12-03-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 06-04-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 07-07-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 21-07-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 05-10-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 07-10-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

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
EudraCT	EUCTR2007-000638-37-NL
CCMO	NL20473.098.07
Ander register	nog niet bekend