

Effect van bezafibraat op zeer langketen vetzuur (ZLKV) metabolisme bij mannen met X-gebonden adrenoleukodystrofie (X-ALD).

Gepubliceerd: 18-06-2010 Laatste bijgewerkt: 04-05-2024

Dit onderzoek is opgezet als een pilot onderzoek. Doel is te onderzoeken of bezafibraat ook in vivo bij de mens ZLKV kan verlagen. Indien dit biochemisch effect kan worden aangetoond, zal een groot vervolgonderzoek worden opgezet met klinische...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON32731

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

BEZA

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
- Ruggenmerg- en zenuwwortelaandoeningen

Synoniemen aandoening

X-gebonden adrenoleukodystrofie, Ziekte van Schilder

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bezafibraat ZLKV X-ALD

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaten zijn cholesterol (totaal-, LDL- en HDL-cholesterol) en triglyceriden in plasma, ZLKV in plasma, leukocyten en erythrocyten en daarnaast C26:0-lyso-PC in volbloed.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire uitkomstparameters zijn bijwerkingen (subjectief en afwijkingen in het safety lab).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

X-gebonden adrenoleukodystrofie (X-ALD) is een erfelijke stofwisselingsziekte, gekenmerkt door stapeling van zeer langketen vetzuren (ZLKV) in het bloed en alle weefsel. Vermoedelijk leidt stapeling van deze ZLKV tot weefselschade. De ziekte kan leiden tot ernstige hersenafwijkingen en overlijden op de kinderleeftijd, of tot progressieve loopproblemen door schade aan het ruggemerg op de volwassen leeftijd. Voor deze laatste categorie patiënten bestaat momenteel geen behandeling. Recent onderzoek in menselijke huidcellen en muizen heeft bezafibraat geïdentificeerd als stof die mogelijk bij de mens ZLKV kan verlagen.

Doel van het onderzoek

Dit onderzoek is opgezet als een pilot onderzoek. Doel is te onderzoeken of bezafibraat ook in vivo bij de mens ZLKV kan verlagen. Indien dit biochemisch effect kan worden aangetoond, zal een groot vervolgonderzoek worden opgezet met klinische uitkomstparameters om vast te leggen of ook het ziektebeloop beïnvloed wordt.

Onderzoeksopzet

8 mannen met X-ALD zullen gedurende 6 maanden bezafibraat gebruiken (in combinatie met een vetbeperkt dieet). Op 6 verschillende momenten zal een venapunctie worden verricht voor detecteren van mogelijke bijwerkingen en meten van de biochemische uitkomstparameters.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Bezafibraat

Inschatting van belasting en risico

In zeldzame gevallen kan bezafibraat (reversibele) leverenzymstijging en rhabdomyolyse veroorzaken. Dit is een zeldzame bijwerking. De belasting bestaat uit 6 maal het ziekenhuis bezoeken voor een venapunctie en het gedurende 6 maanden gebruiken van bezafibraat.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1100DD Amsterdam
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1100DD Amsterdam
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)

- 18 jaar of ouder
- In staat tot het geven van informed consent en in staat de controlebezoeken het ziekenhuis te bezoeken
- Geen contra-indicaties voor het gebruik van de studie medicatie zoals ernstig nier- of leverfalen
- Bewezen X-ALD (middels DNA diagnostiek of fibroblastenstudies) en verhoogde ZLKV in serum

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Gebruik van medicatie met een cholesterol- of triglyceride verlagend effect (m.n. statines)
- Leverafwijkingen of verhoogd CK meer dan 3 keer baseline waardes van het klinisch chemisch laboratorium
- Behandeling met een ZLKV verlagende behandeling zoals Lorenzo's olie in de 8 weken voor de aanvang van de studie
- Nederlandse taal niet machtig of anderszins niet in staat instructies te begrijpen of zich aan medicatieschema te houden

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-01-2010
Aantal proefpersonen:	8
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Bezalip
Generieke naam:	bezafibraat
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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	EUCTR2009-015732-15-NL
CCMO	NL30249.018.09