

Open lange termijn vervolgonderzoek bij minderjarigen vanaf 8 jaar met pulmonale arteriële hypertensie die aan het onderzoek AMB112529 hebben meegedaan en bij wie continuering van de behandeling met ambrisentan gewenst is (AMB114588)

Gepubliceerd: 25-11-2010 Laatste bijgewerkt: 03-05-2024

Primair: Lange termijn veiligheid en verdraagbaarheid. Secundair: Ondersteunende gegevens over werkzaamheid op lange termijn.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Longvaataandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON34600

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

AMB114588

Aandoening

- Longvaataandoeningen

Synoniemen aandoening

Pulmonale arteriële hypertensie, pulmonale hypertensie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: GlaxoSmithKline

Overige ondersteuning: GlaxoSmithKline BV

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ambrisentan, minderjarigen, pulmonale arteriële hypertensie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Bijwerkingen.

Secundaire uitkomstmaten

O.a. overlijden, inspanningstolerantie, tijd tot klinische verslechtering, NT

proBNP, NYHA klassificatie, SF-10 vragenlijst.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Pulmonale arteriële hypertensie (PAH) is een levensbedreigende ongeneeslijke ziekte die wordt gekarakteriseerd door een forse blijvende verhoging van de pulmonale arteriële druk. Dit leidt uiteindelijk tot rechter ventrikel falen en overlijden.

Er zijn diverse behandelingen beschikbaar, maar geen enkel middel blijkt bij alle patiënten effectief. De morbiditeit en mortaliteit is hoog onder patiënten met PAH die symptomatisch blijven ondanks beschikbare behandeling.

Ambrisentan is een endotheline receptor antagonist (ERA). Het richt zich op de ETA receptor en blokkeert de ongunstige effecten van het vasoconstrictieve endotheline-1. Het middel is onder de naam Volibris geregistreerd voor de behandeling van volwassenen met pulmonale hypertensie.

Op bosentan na is geen van de middelen geregistreerd voor het gebruik bij jongeren, al worden ze wel off-label gebruikt. In lijn met de huidige opvattingen wil de fabrikant van ambrisentan gestructureerde gegevens verzamelen over de effecten van ambrisentan bij jongeren.

Dit is een vervolgonderzoek op de studie AMB112529, die is opgezet om gegevens bij minderjarigen vanaf 8 jaar met pulmonale hypertensie te verzamelen over

werkzaamheid, veiligheid en farmacokinetiek van twee doseringen ambrisentan. Het doel van deze vervolgstudie is enerzijds om lang termijn gegevens te verzamelen en anderzijds om de deelnemers in staat te stellen om ambrisentan te blijven gebruiken tot het middel geregistreerd is voor kinderen.

Doel van het onderzoek

Primair: Lange termijn veiligheid en verdraagbaarheid. Secundair: Ondersteunende gegevens over werkzaamheid op lange termijn.

Onderzoeksopzet

Multicenter open niet vergelijkend fase III onderzoek.

Behandeling met ambrisentan in een door de onderzoeker te kiezen dosering.

Minimaal 6 maanden behandeling. Daarna mogelijkheid om door te gaan, totdat

- * De proefpersoon 18 jaar wordt (ambrisentan is geregistreerd voor de behandeling van volwassenen).
- * Ambrisentan aan minderjarigen mag worden voorgeschreven.
- * De onderzoeker tot stoppen besluit of de proefpersoon de toestemming intrekt.
- * De ontwikkeling van ambrisentan voor de behandeling van kinderen met PAH wordt stopgezet.

Maximaal 66 patiënten.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Behandeling met ambrisentan.

Inschatting van belasting en risico

Risico: Bijwerkingen van studiemedicatie.

Belasting: Maandelijks bloedonderzoek (2.5-3.5 ml/keer) en zwangerschapstest (indien relevant). Controles door de arts elke 3 maanden. Duur 1-3 uur.

Elke 3 maanden: SF10 vragenlijst.

Elke 6 maanden: lichamelijk onderzoek, ECG, echocardiogram, 6 minuten wandeltest.

Extra in vergelijking met reguliere behandeling: langduriger ziekenhuisbezoek (1-2 u), mogelijk wat vaker bloedonderzoek (3-4x). 6 minuten wandeltest, zwangerschapstest en vragenlijst: doorgaans alleen vanwege deelname aan studie.

Contactpersonen

Publiek

GlaxoSmithKline

Huis ter Heideweg 62
3705 LZ Zeist
NL

Wetenschappelijk

GlaxoSmithKline

Huis ter Heideweg 62
3705 LZ Zeist
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

* Deelname (met goede compliance) in protocol AMB112529 en voldoende aan een van de volgende criteria:

- Bezoek van week 24 volbracht;
- Behoefde aanvullende gerichte behandeling voor PAH vanwege onvoldoende respons op de huidige behandeling of verslechtering van de klinische conditie vóór week 24;
- Behoefde tijdens AMB112529 verlaging van de dosering van de bij baseline aanwezige gerichte behandeling voor PAH;
- Voortzetting van de behandeling met ambrisentan is volgens de onderzoeker zinvol.

* Vrouwen in vruchtbare leeftijd: betrouwbare anticonceptiemethode.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- * Ambrisentan gestaakt en/of non-compliance in studie AMB112529
- * Estimated creatinine clearance <30 mL/min.
- * Klinisch significante vochtretentie.
- * Klinisch significante anemie.
- * Zwangerschap of borstvoeding.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Zal niet starten
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Volibris
Generieke naam:	ambrisentan
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-11-2010

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-07-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-07-2011
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-11-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-07-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-08-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-09-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-09-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-11-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-02-2013

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO Datum:	16-04-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO Datum:	13-06-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO Datum:	10-07-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO Datum:	08-08-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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
Ander register	clinicaltrials.gov, registratienummer n.n.b.
EudraCT	EUCTR2010-021572-29-NL
CCMO	NL34702.042.10