

Een open label, multi-centrum, niet vergelijkend onderzoek naar de effectiviteit en veiligheid van NNC-0156-0000-0009 tijdens operaties bij patiënten met Hemofilie B

Gepubliceerd: 25-01-2011 Laatste bijgewerkt: 27-04-2024

Primair doel: Het evalueren van het hemostatische effect van N9-GP tijdens operaties bij patiënten met hemofilie B. Belangrijke secundaire doelen: • Het evalueren van het hemostatische effect van N9-GP tijdens de ingreep en post-operatieve periode. • ...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON36798

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Paradigm3

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

bloederziekte, Hemofilie B

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Novo Nordisk

Overige ondersteuning: Novo Nordisk (industrie)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Geneesmiddelenonderzoek, Hemofilie B, N9-GP, Operatie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primair eindpunt: Hemostatisch effect tijdens operaties geëvalueerd door een vier-punts schaal (Voortreffelijk, goed, gemiddeld, slecht), beoordeeld door de onderzoeker/chirurg op de dag van de operatie.

Secundaire uitkomstmaten

Belangrijke secundaire eindpunten:

- Het gebruik van N9-GP (U/kg lichaamsgewicht) tijdens de ingreep en post-operatieve periode.
- Benodigde transfusies tijdens de ingreep en post-operatieve periode.
- Hemoglobine voor en na de start van de operatie (0, 1 uur, 24 uur en iedere 24 uur in de post-operatieve periode.
- Adverse Events (AE*s) en Serious Adverse Events (SAE*s) gerapporteerd tijdens de onderzoeksperiode tot aan de laatste visite.
- Incidentie van remmers tegen FIX (≥ 0.6 BU) tot aan de laatste visite.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit onderzoek is opgezet om de veiligheid en werkzaamheid van N9-GP tijdens

operaties bij hemofilie B patiënten te onderzoeken. Een operatie onderzoek is in overeenstemming met de draft EMA guideline voor klinisch onderzoek van recombinant en menselijk plasma afgeleide Factor IX producten. Het onderzoek zal informatie verschaffen over het profylactische effect op bloedingen tijdens operaties, het stoppen van bloedingen tijdens en na de procedure, en het veiligheidsprofiel van N9-GP bij patiënten met hemofilie B.

Op basis van data uit klinische en non-klinische studies, is N9-GP een veelbelovend middel voor profylactische en on-demand behandeling van bloedingen in patiënten met hemofilie B. Het afgeronde fase 1 onderzoek heeft aangetoond dat N9-GP een gemiddelde t^* heeft van 93 uur. Dit is ongeveer 5 keer zo lang als commercieel verkrijgbare Factor IX concentraten.

Doel van het onderzoek

Primair doel: Het evalueren van het hemostatische effect van N9-GP tijdens operaties bij patiënten met hemofilie B.

Belangrijke secundaire doelen:

- Het evalueren van het hemostatische effect van N9-GP tijdens de ingreep en post-operatieve periode.
- Het evalueren van de algemene veiligheid, inclusief immunogeniciteit van N9-GP, wanneer gebruikt voor profylaxe en behandeling van bloedingen tijdens de ingreep en post-operatieve periode.

Onderzoeksopzet

Het onderzoek is een open-label, multicentrum, niet vergelijkend onderzoek naar de effectiviteit en veiligheid van N9-GP bij operaties. Wereldwijd zullen inimaal 10 operaties in 5-10 patiënten worden geëvalueerd.

Dit onderzoek zal informatie verschaffen over het profylactische effect op bloedingen van N9-GP, wanneer dit wordt toegediend voor, tijdens en na de ingreep.

Patiënten die meedoen aan dit onderzoek kunnen worden gerekruteerd vanuit het hoofdonderzoek (Paradigm2) of het vervolgonderzoek (Paradigm4). Daarnaast kunnen nieuwe patiënten worden gerekruteerd. Na het onderzoek zullen de patiënten de mogelijkheid krijgen om door te gaan op profylactische of on-demand behandeling in het vervolgonderzoek (Paradigm4).

Het onderzoek zal bestaan uit een screeningsvisite (voor nieuwe patiënten) of een pre-operatieve visite (voor patiënten overgeplaatst vanuit het hoofdonderzoek (Paradigm2) of het vervolgonderzoek (Paradigm4)), de dag van de ingreep (visite twee) en een post-operatieve periode (dag één tot dertien; visite drie).

Onderzoeksproduct en/of interventie

Wekelijkse injecties met N9-GP in de periode voor de operatie. Een initiële injectie op de dag van de operatie en daarna afhankelijk van de behoefte van de patiënt. Daarnaast operatie afhankelijke interventies.

Inschatting van belasting en risico

Op de plaats van de bloedafname, of injectie met onderzoeksmedicatie kan sprake zijn van tijdelijk ongemak, blauwe plekken, bloedingen of zwellingen. Er bestaat ook een zeer kleine kans op een infectie op de plaats waar de naald wordt ingebracht. Verder is het mogelijk dat N9-GP bijwerkingen veroorzaakt. Daarnaast bestaat het risico dat er antistoffen tegen N9-GP en/of factor IX worden gevormd die de werkzaamheid van toekomstige behandelingen met FIX-producten kunnen verminderen.

Contactpersonen

Publiek

Novo Nordisk

Flemingweg 18
2408 AV Alphen a/d Rijn
NL

Wetenschappelijk

Novo Nordisk

Flemingweg 18
2408 AV Alphen a/d Rijn
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)

- Mannelijke patiënten, leeftijd 13-70 jaar, matig ernstige of ernstige aangeboren hemofilie B met een FIX activiteit $\leq 2\%$ volgens de medische brongegevens

NB: In Nederland zullen alleen patiënten in de leeftijd van 18-70 jaar worden ingesloten

- Geschiedenis van ten minste 150 dagen blootstelling aan andere FIX producten
- Geplande operatie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Geschiedenis van FIX remmers gebaseerd op bestaande medische brongegevens, lab rapporten, of informatiegesprekken met de patiënt en/of gemachtigde wettelijk vertegenwoordiger

- FIX remmers ≥ 0.6 BU (centraal laboratorium)

- Eerdere slagaderlijke thrombotische gebeurtenis (e.g. myocard infarct en intracraniële thrombose) of eerdere diep-veneuze trombose of longembolie (als gedefinieerd in de medische brongegevens)

- ALT > 3 maal de bovenlimiet van de referentie waarden bij screening (centraal laboratorium)

- Gebruik van immuun modulerende of chemotherapeutische medicatie

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: 2
Type: Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Nog niet bekend
Generieke naam: N9-GP

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 25-01-2011
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 24-08-2011
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 12-09-2011
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 16-01-2012
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 13-02-2012
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 17-04-2012

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-01-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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	EUCTR2010-023070-40-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01386528
CCMO	NL35219.041.11