

Bioequivalentie van Orfadin suspensie 4 mg/ml in vergelijking met Orfadin capsules 10 mg en het effect van voedsel op de opname van de suspensie. Een open-label, gerandomiseerd, cross-over, enkele dosering onderzoek in gezonde vrijwilligers.

Gepubliceerd: 15-08-2012 Laatste bijgewerkt: 26-04-2024

Het primaire doel van het onderzoek is om bioequivalentie tussen nitisinone orale suspensie en nitisinone capsules aan te tonen. De secundaire doelen van de studie zijn: Het bepalen van het effect van voedsel op de biologische beschikbaarheid van...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON37007

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Bioequivalentie van nitisinone orale capsule formulering

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

Synoniemen aandoening

erfelijke tyrosinemie type 1

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Swedish Orphan International
Overige ondersteuning: Farmaceutische industrie

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bioequivalentie, erfelijke tyrosinemie type 1, voedsel effect

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

AUC72h, van de serum concentratie tegen de tijd profiel

De Maximale serum concentratie (Cmax).

Secundaire uitkomstmaten

AUC72h, AUC van tijd nul tot oneindig (AUC*), Cmax, tijd tot Cmax bereikt is (tmax), terminale half waarde tijd (t*), orale clearance (CL/F), en het schijnbare distributie volume (Vz/F).

Bijwerkingen, klinische chemie, hematologie en urine chemie

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Orfadin® (nitisinone) is een medicijn dat gebruikt wordt bij de behandeling van erfelijke tyrosinemie type 1, een aangeboren metabole afwijking (zie de bijsluiter voor gedetailleerde informatie). Voor de toelating van Orfadin® (in 2002 in de VS en in 2005 in Europa) was er geen behandeling beschikbaar voor deze dodelijke aandoening en stierven de patienten op zeer jonge leeftijd. Hoewel sommige patienten ondertussen volwassen zijn, zijn de meeste patienten nog kinderen. De nieuwe formulering die tijdens dit onderzoek getest wordt is eenvoudiger in te nemen voor kinderen.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van het onderzoek is om bioequivalentie tussen nitisinone orale suspensie en nitisinone capsules aan te tonen.

De secundaire doelen van de studie zijn:

Het bepalen van het effect van voedsel op de biologische beschikbaarheid van nitisinone orale suspensie

Het bepalen van geselecteerde PK variabelen voor nitisinone capsules en orale suspensie, de laatste gegeven met en zonder voedsel, bij een eenmalige enkele dosering van 30 mg.

Het bepalen van de verdraagbaarheid en veiligheid van nitisinone capsules en suspensie, de laatste gegeven met of zonder voedsel, na een eenmalige, enkele dosering van 30 mg.

Onderzoeksopzet

Dit is een gerandomiseerd, open label, 3- weg cross over onderzoek, met 14 dagen uitwastijd tussen toedieningen

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle vrijwilligers ontvangen in gerandomiseerde volgorde: - 30 mg nitisinone als 3 capsules, zonder voedsel - 30 mg nitisinone als 7,5 ml suspensie voor orale toediening, zonder voedsel - 30 mg nitisinone als 7,5 ml suspensie voor orale toediening, na een ontbijt met een hoog vetgehalte.

Inschatting van belasting en risico

Tijdens het onderzoek worden diverse onderzoeken uitgevoerd die als meer of minder belastend kunnen worden ervaren.

Dit betreft:

- bloedafname via venapunctie en intraveneuze canule
- ECG
- spleet lamp ofthalmoscopie

Contactpersonen

Publiek

Swedish Orphan International

Tomtebodavägen 23A
Solna 112 76
SE

Wetenschappelijk

Swedish Orphan International

Tomtebodavägen 23A
Solna 112 76
SE

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)

Gezonde mannelijke vrijwilligers
18-55 jaar, inclusief
BMI: 18.5 * 30.0 kg/m², inclusief
rookt ≤ 10 sigaretten per dag

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Lijdend aan hepatitis B, hepatitis C, kanker of HIV/AIDS.
Indien gedurende de 90 dagen voorafgaand aan de start van dit onderzoek aan een ander geneesmiddelenonderzoek is deelgenomen.
Indien gedurende de 60 dagen voor start van dit onderzoek meer dan 50 mL bloed is gegeven.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	29-08-2012
Aantal proefpersonen:	12
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Orfadin
Generieke naam:	Nitisinone
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Orfadin suspensie
Generieke naam:	Nitisinone

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-08-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-08-2012

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

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	EUCTR2012-002008-42-NL
CCMO	NL41128.056.12