

Een poliklinische fase 3 studie naar de werkzaamheid van Ecopipam (PSYRX 101) voor de symptomatische behandeling van zelfverwondend gedrag bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan.

Gepubliceerd: 26-10-2012 Laatste bijgewerkt: 26-04-2024

Het primaire doel van dit onderzoek is om de werkzaamheid van Ecopipam te beoordelen op het verminderen van zelfverwondend gedrag bij volwassenen en kinderen met de ziekte van Lesch-Nyhan in een poliklinische setting. De secundaire doelstellingen...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON37257

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

N/A

Aandoening

- Overige aandoening
- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Bewegingsstoornissen (incl. parkinsonisme)

Synoniemen aandoening

HPRT genmutatie, ziekte van Lesch-Nyhan

Aandoening

zelfverwondend gedrag

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Psyadon Pharmaceuticals Inc.

Overige ondersteuning: farmaceutisch bedrijf

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Ecopipam, inventarisatie van gedragsproblemen, zelfverwondend gedrag, ziekte van Lesch-Nyhan

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het primaire eindpunt is de *Behavior Problems Inventory* (inventarisatie van gedragsproblemen - zelfverwondend gedrag subschalen voor ernst en frequentie) zoals beoordeeld door de verzorger.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire variabelen die geanalyseerd zullen worden zijn de totale en andere subschalen van de *Behavior Problems Inventory* (inventarisatie van gedragsproblemen) en de stopzettings- en onderhoudseffecten van Ecopipam. Gegevens over veiligheid die geëvalueerd zullen worden zijn o.a. ongewenste voorvallen, klinische laboratoriumresultaten, vitale functies en andere resultaten.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

2 - Een poliklinische fase 3 studie naar de werkzaamheid van Ecopipam (PSYRX 101) vo ... 25-05-2025

Ecopipam is een studiegeneesmiddel dat nog geen marketing goedkeuring heeft ontvangen van de autoriteiten zoals *European Medicines Agency* (EMA). Ecopipam wordt op dit moment onderzocht voor de symptomatische behandeling van zelfverwondend gedrag bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan.

De ziekte van Lesch-Nyhan is een zeer zeldzame neurogenetische aandoening veroorzaakt door een mutatie van het HPRT-gen. Het wordt gekenmerkt door opstapeling van urinezuur, intellectuele beperking, bewegingsstoornissen en zelfverwondend gedrag. Schattingen wijzen op een incidentie van de ziekte van Lesch-Nyhan van 1 op 235,000 geboortes en een voorkomen van 1 geval per miljoen.

D1-receptor super-gevoeligheid is mogelijk een mechanisme voor het herhaaldelijk en dwangmatig zelfverwondende gedrag. Ecopipam is een selectieve antagonist van de D1-receptor familie. Dit onderzoek heeft als doel de werkzaamheid en de veiligheid van Ecopipam te beoordelen in de symptomatische behandeling van zelfverwondend gedrag bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van dit onderzoek is om de werkzaamheid van Ecopipam te beoordelen op het verminderen van zelfverwondend gedrag bij volwassenen en kinderen met de ziekte van Lesch-Nyhan in een poliklinische setting. De secundaire doelstellingen van dit onderzoek zijn het beoordelen van het effect van stopzetting, onderhoud en veiligheid van Ecopipam bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan.

Onderzoeksopzet

Protocol PSY102 is een multicenter, gerandomiseerd, dubbel geblindeerde, 3-periode gekruiste studie met een open-label studieverlenging. In een poliklinische setting zullen de patiënten gerandomiseerd worden voor de initiële behandeling met placebo of Ecopipam. De dubbel geblindeerde behandeling zal gespreid zijn over een periode van 19 tot 20 weken waarin de patiënten één van de twee volgende sequenties ontvangen: Sequentie A- placebo, Ecopipam, placebo of Sequentie B - Ecopipam, placebo, Ecopipam.

Ecopipam (50 of 100 mg, afhankelijk van gewicht) of gelijkaardige placebo zullen dagelijks worden ingenomen bij het slapen gaan. Patiënten die de dubbel geblindeerde behandeling verdragen, zullen toegelaten worden in de open-label studieverlenging. De patiënten zullen dan Ecopipam (50 of 100mg, afhankelijk van gewicht) ontvangen voor maximaal 52 weken en nemen dagelijks het studiegeneesmiddel in bij het slapen gaan.

Onderzoeksproduct en/of interventie

* Dubbel geblindeerde fase: Patiënten zullen Ecopipam (50 of 100mg, afhankelijk van gewicht) of gelijkaardige placebo ontvangen dagelijks bij het slapen gaan. Er zal geen studiemedicatie worden ingenomen tijdens de follow-up periode (tussen behandelingsperiode 3 en de start van de open-label fase). * Open-label studieverlengingsfase Patiënten zullen een dagelijkse enkelvoudige dosis van Ecopipam (50 of 100 mg, afhankelijk van gewicht) ontvangen bij het slapen gaan.

Inschatting van belasting en risico

Er is op dit moment geen medicatie goedgekeurd voor de behandeling van zelfverwondend gedrag bij patiënten met de ziekte van Lesch-Nyhan. Het onderzoek heeft als doel om de werkzaamheid en veiligheid van Ecopipam te bestuderen in de symptomatische behandeling van zelfverwondend gedrag bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan. Ecopipam is reeds bestudeerd bij meer dan 2000 mensen in klinische studies en werd goed verdragen. Bij een onderzoek met Ecopipam bij mensen met de ziekte van Lesch-Nyhan waren de meest voorkomende neveneffecten: slaperigheid, maagklachten en onvrijwillige spierbeweging (dystonie).

De totale duur van het onderzoek zal ongeveer 17 maanden zijn per patiënt (maximaal 18 weken dubbel geblindeerde behandeling, 1 tot 2 weken follow-up, gevolgd door maximaal 52 weken voor de open-label studieverlenging). Maximaal zullen 3 bezoeken aan het klinisch centrum en 6 huisbezoeken uitgevoerd worden. Ook zal de verzorger elke 4 weken telefonisch gecontacteerd worden tijdens de open-label studieverlenging.

Volgende onderzoeken zullen gebeuren tijdens de onderzoeksstudie (zie overzicht van procedures/onderzoeken op pagina 31 van het protocol):

- Lichamelijk onderzoek: 1x
- Bepalen van vitale functies (systolische en diastolische bloeddruk, hartslag, ademhalingsfrequentie, lichaamstemperatuur en gewicht): 9x
- Meten van lengte: 1x
- Afnemen van bloed: 3x (in totaal ongeveer 30 ml)
- Verzamelen van urine: 3x
- Zwangerschapstest (in urine): 3x (enkel bij vruchtbare vrouwen)

De *Behavior Problems Inventory* (inventarisatie van gedragsproblemen) (22x) en de *Caregiver Global Impression* (algehele indruk van de verzorger) (6x) zullen ingevuld worden door de verzorger.

Contactpersonen

Publiek

Psyadon Pharmaceuticals Inc.

Seneca Meadows Parkway 20451
Germantown MD 20876
US

Wetenschappelijk

Psyadon Pharmaceuticals Inc.

Seneca Meadows Parkway 20451
Germantown MD 20876
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- * Proefpersonen moeten de klassieke ziekte van Lesch-Nyhan hebben, zoals gedefinieerd door (a) een karakteristiek klinisch syndroom (bewijs van overproductie van urinezuur, ernstige algemene dystonie, frequent en voortdurend zelfverwondend gedrag, en cognitieve stoornis) en (b) bevestiging van het laboratorium van een mutatie van het HPRT gen of een ernstige deficiëntie van het bijbehorende enzym.
- * Proefpersonen moeten een minimale gecombineerd score van 20 hebben op de BPI (Behavior Problems Inventory: inventarisatie van gedragsproblemen) SIB (zelfverwondend gedrag) subschalen voor frequentie en ernst, zoals beoordeeld door de verzorger.

- * Proefpersonen moeten een minimale score van 4 hebben op de PGI-S schaal (Physician's Global Impression severity: algehele indruk van de arts over the ernst van de ziekte).
- * Proefpersonen moeten ≥ 6 jaar oud zijn.
- * Proefpersonen moeten > 10 kg wegen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- * Proefpersonen die momenteel behandeld worden met medicatie voor beroertes.
- * Proefpersonen die neuroleptica of dopamine-afgevend middelen nemen.
- * Proefpersonen met een verminderde nierfunctie, zoals aangegeven door serum creatinine $> 1,5$ mg/dL.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Zal niet starten
(Verwachte) startdatum:	01-11-2012
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	N/A

Generieke naam: Ecopipam

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	26-10-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-01-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-03-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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	EUCTR2012-002662-12-NL
CCMO	NL41689.091.12
Ander register	Wordt later geregistreerd