

Een open-label verlengingsonderzoek in een aantal verschillende centra ter beoordeling van de veiligheid en werkzaamheid op lange termijn van dexpramipexol (BIIB050) bij patiënten met amyotrofe laterale sclerose

Gepubliceerd: 14-06-2012 Laatst bijgewerkt: 26-04-2024

Primair: Het primaire doel van het onderzoek is de evaluatie van het veiligheidsprofiel van dexpramipexol op de lange termijn bij ALS-patiënten. Secundair: Het secundaire doel van dit onderzoek is de evaluatie van de doeltreffendheid van dexpramipexol...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON37292

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ENVISION

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Amyotrofische laterale sclerose, ziekte van Charcot

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Biogen Idec Limited

Overige ondersteuning: the pharmaceutical industry.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ALS, Amyotrofische Laterale Sclerose, lange termijn, neurologische aandoening van de motorische zenuwcellen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primair:

De volgende eindpunten zullen worden geëvalueerd:

- incidentie van bijwerkingen (AE*s) en ernstige bijwerkingen (SAE*s)
- stopzetting van onderzoeksbehandeling wegens een bijwerking
- wijzigingen in vitale functies, klinische laboratoriumtests (hematologie, bloedchemie en urineanalyse), 12-afleidingen elektrocardiogrammen (ecg*s) en lichaamsgewicht
- incidentie van abnormale laboratoriumwaarden

Secundaire uitkomstmaten

Secundair:

De volgende secundaire eindpunten zullen worden geëvalueerd:

- wijziging in de score op de herziene schaal voor functioneren met ALS (ALSFRS-R, ALS Functional Rating Scale-Revised)
- afname bij de neusdrukmetingen (SNIP, sniff nasal inspiratory pressure)
- tijd tot overlijden
- tijd tot overlijden of vergelijkbaar (tracheotomie of permanente kunstmatige beademing [PAV], gedefinieerd als gebruik van non-invasieve beademing [NIV]

gedurende ten minste 22 uur per dag gedurende 10 dagen en meer)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Momenteel is er slechts één geneesmiddel beschikbaar voor de behandeling van ALS, namelijk Rilutek® (riluzol, Sanofi Aventis, goedgekeurd in de Verenigde Staten door de Amerikaanse Food and Drug Administration in 1995 en het Europese geneesmiddelenagentschap in 1996). Rekening houdend met de ernst van de aandoening, het gebrek aan krachtige werkzaamheid van riluzol en de beperkte mogelijkheden voor verdere behandeling, blijft er een dringende medische behoefte bestaan aan doeltreffende en veilige behandelingen voor ALS. Uit een tweedelig fase 2 onderzoek, uitgevoerd door Knopp Neurosciences Inc. (KNS-760704-CL201 [CL201]), is gebleken dat dexpramipexol goed wordt verdragen in doses van 25 mg tot 150 mg tweemaal per dag. De onderzoeksresultaten wezen ook op een dosisafhankelijke tendens van een vertraging van de functionele achteruitgang, gemeten aan de hand van verandering op de bijgewerkte functionele waarderingsschaal voor ALS (ALS Functional Rating Scale-Revised, ALSFRS-R), en een tendens van een verlaging van het sterftecijfer in de groep met 150 mg tweemaal per dag in vergelijking met de groep met 25 mg tweemaal per dag. In dit verlengingsonderzoek wordt verder het profiel geëvalueerd van de veiligheid en doeltreffendheid van dexpramipexol op de lange termijn.

Doel van het onderzoek

Primair:

Het primaire doel van het onderzoek is de evaluatie van het veiligheidsprofiel van dexpramipexol op de lange termijn bij ALS-patiënten.

Secundair:

Het secundaire doel van dit onderzoek is de evaluatie van de doeltreffendheid van dexpramipexol op de lange termijn bij deze onderzoekspopulatie aan de hand van de klinische eindpunten waar functioneren en overleving worden gemeten.

Onderzoeksopzet

(Fase-3-verlengingsonderzoek van de veiligheid en doeltreffendheid van dexpramipexol bij ALS)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle proefpersonen zullen 300 mg dexamipexol per dag ontvangen (150 mg toegediend tweemaal daags).

Inschatting van belasting en risico

Na inname van de studiemedicatie wordt de patient gevraagd op de volgende momenten naar het ziekenhuis te komen:

- in maand 1, maand 2, maand 4 en maand 6
- eenmaal om de 4 maanden vanaf maand 10 tot en met maand 34 (in maand 10, 14, 18, 22, 26, 30 en 34)
- in maand 36 (of binnen 7 dagen na uw laatste dosis van het onderzoeksgeneesmiddel als u het stopzet vóór het einde van het onderzoek)
- 1 maand na delatste dosis van het onderzoeksgeneesmiddel.

Om de maand voert het onderzoekspersoneel evaluaties uit door de patient te bellen en/of thuis te bezoeken. Het onderzoeksteam zal contact opnemen in maand 3 en 5 en om de 4 maanden vanaf maand 8 tot en met maand 32 (in maand 8, 12, 16, 20, 24, 28 en 32).

De volgende testen zullen tijdens sommige of alle visites worden uitgevoerd.

- Medische geschiedenis en lichamelijk onderzoek.
- Bloeddruk, hartslag frequentie, ademhalingsfrequentie, temperatuur, gewicht en lengte.
- Bloed en urine testen
- Zwangerschap test (wanneer van toepassing)
- Bloedtesten voor controle van het nivo van studiemedicatie in het bloed.
- Electrocardiogram (ECG)
- Long functie testen
- Vragen over moeilijkheden die de patient gehad kan hebben, hoe de patient zich voelt en hoe goed de patient zijn gewone dagelijkse activiteiten kan doen.
- vragen over of de patient de sutdiemedicatie volgens de instructies inneemt.
- Vragen over andere medicatie die de patient neemt
- Vragen over nieuwe bijwerkingen.

Contactpersonen

Publiek

Biogen Idec Limited

Innovation House, 70 Norden Road 70
Maidenhead SL6 4AY
GB

Wetenschappelijk

Biogen Idec Limited

Innovation House, 70 Norden Road 70
Maidenhead SL6 4AY
GB

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)

1. De proefpersoon moet in staat zijn om het doel en de risico's van het onderzoek te begrijpen en moet een ondertekend en gedateerd informatie- en toestemmingsformulier verstrekken. Indien de proefpersoon niet kan schrijven, moet de toestemming worden bevestigd door een getuige. De proefpersoon moet het gebruik van beschermde gezondheidsinformatie in overeenstemming met landelijke en plaatselijke voorschriften voor privacy van de proefpersoon goedkeuren.;2. De proefpersoon was geregistreerd in onderzoek CL211 of in onderzoek 223AS302.;3. De proefpersoon heeft het laatste bezoek voltooid voor onderzoek CL211 of onderzoek 223AS302.;4. Proefpersonen die zwanger kunnen worden of een kind kunnen verwekken, moeten tijdens het hele onderzoek en gedurende 1 maand (vrouwen) of 3 maanden (mannen) na de laatste dosis onderzoeksbehandeling betrouwbare anticonceptie toepassen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De proefpersoon heeft zich voortijdig teruggetrokken uit onderzoek CL211 of onderzoek 223AS302.;2. De proefpersoon heeft de onderzoeksbehandeling definitief stopgezet in onderzoek CL211 of onderzoek 223AS302 wegens een andere reden dan de registratie voor dit onderzoek.;3. Een proefpersoon van onderzoek CL211 of onderzoek 223AS302 heeft een significante wijziging in zijn/haar medische voorgeschiedenis (inclusief laboratoriumtests of een klinisch significante aandoening) die volgens de onderzoeker de medische geschiktheid van de proefpersoon voor deelname zou verminderen en de behandeling zou uitsluiten.;4. Een vrouwelijke proefpersoon is zwanger of geeft borstvoeding.;5. De proefpersoon is momenteel geregistreerd in een ander onderzoek met een experimenteel geneesmiddel dan onderzoek CL211 of onderzoek 223AS302.;6. De proefpersoon gebruikt pramipexol, andere dopamineagonisten, een ander middel met dopaminerge activiteit of een andere, niet toegestane gelijktijdige medicatie.;7. De proefpersoon is niet bereid of niet in staat om de vereisten van het protocol na te leven, inclusief de aanwezigheid van een aandoening (lichamelijk, psychisch of sociaal) die wellicht het vermogen van de proefpersoon zal verminderen om het protocol na te leven. Proefpersonen die niet in staat zijn om te reizen naar het onderzoekscentrum, moeten ten minste bereid zijn tot bloedafname buiten het centrum voor klinische laboratoriumtests en telefonische gesprekken voor melding van bijwerkingen, gelijktijdig gebruikte medicatie en ALSFRS-R-scores.

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
(Verwachte) startdatum:	30-09-2012
Aantal proefpersonen:	37
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	n/a
Generieke naam:	Dexpramipexole

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-06-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-08-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-12-2012
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	EUCTR2011-006119-70-NL

Register

CCMO

ID

NL40561.041.12