

Een enkelarmige, fase II, open-label studie om te bepalen wat het effect is van tweemaal daags 100 mg orale dosering Midostaurin in patiënten met agressieve systemische mastocytose of mestcel leukemie al dan niet in combinatie met een geassocieerde klonale hematologische aandoening

Gepubliceerd: 10-06-2008 Laatste bijgewerkt: 06-05-2024

Doel van dit onderzoek is om vast te stellen of midostaurin een effectief en veilig geneesmiddel is voor mensen die lijden aan agressieve systemische mastocytose of mestcel leukemie.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Leukemieën
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON37318

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Agressieve systemische mastocytose of mest cel leukemie, midostaurin

Aandoening

- Leukemieën

Synoniemen aandoening

Agressieve systemische mastocytose

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Novartis

Overige ondersteuning: Novartis Pharma B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Agressieve systemische mastocytose, mest cel leukemie, midostaurin

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Bepaling van het effect van midostaurin in patienten met ASM of MCL bij een dosering van 2 maal daags 100 mg continu geslikt.

Secundaire uitkomstmaten

Evalueren van duur van de respons

Evalueren van tijd tot aan respons

Evalueren van totale overleving

Evalueren van veiligheid en verdraagbaarheid van midostaurin in patienten met ASM of MCL

Karakteriseren van KIT mutatie status op baseline en na 6 kuren behandeling, en evalueren van mogelijke veranderingen met gemeten effecten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Agressieve Systemische Mastocytose (ASM) en Mestcel Leukemie (MCL) zijn gevorderde stadia van de ziekte mastocytose. Symptomen van deze ziekte worden veroorzaakt doordat mestcellen zich in de organen nestelen of doordat

mestcellen stoffjes in het bloed achterlaten welke symptomen veroorzaken. Tot op heden zijn er beperkte behandelmogelijkheden voor ASM en MCL. Bestaande behandelingen zoals interferon-alpha, imatinib, steroïden en cladribine laten over het algemeen wel verbeteringen zien, maar de ziekte zal niet compleet verdwijnen.

Doel van het onderzoek

Doel van dit onderzoek is om vast te stellen of midostaurin een effectief en veilig geneesmiddel is voor mensen die lijden aan agressieve systemische mastocytose of mestcel leukemie.

Onderzoeksopzet

Na het doorlopen van de screeningsfase zal de patient starten met midostaurin behandeling. Patienten zullen 2 maal daags midostaurin innemen. Patienten kunnen met de behandeling doorgaan zolang midostaurin goed verdragen wordt of totdat de ziekte verergert.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patienten zullen behandeld worden met 2 maal daags 100 mg midostaurin per dag. Een kuur duurt 28 dagen. Patienten slikken continu medicatie (er zijn dus geen rustweken).

Inschatting van belasting en risico

Na de screeningsperiode zal de patient in de eerste maand van de behandeling de eerste 3 dagen opgenomen worden om zorgvuldig te controleren hoe patient op de behandeling reageert, wat eventuele bijwerkingen zijn en om bloed afnamen te doen waarin de concentratie van de studiemedicatie gemeten wordt.

Vervolgens bezoekt de patient in de eerste maand van de behandeling wekelijks de arts. In de tweede maand van de behandeling bezoekt de patient 2 wekelijks de arts en vanaf de derde maand 1 maal per week. Na 10 maanden behandeling bezoekt de patient de arts eens per 3 maanden.

Via beenmergafnames, botscans en botdichtheidsmetingen zal evaluatie van de respons plaatsvinden.

Contactpersonen

Publiek

Novartis

Raapopseweg 1
6800 LZ Arnhem
NL

Wetenschappelijk

Novartis

Raapopseweg 1
6800 LZ Arnhem
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)

Volwassen patiënten met één major plus minimaal één minor criterium, of de aanwezigheid van minimaal 3 minor criteria volgens de WHO criteria voor Systemische Mastocytose (Valent et al. 2001); Patiënten moeten minimaal één meetbare C-finding hebben.; Voor patiënten met MCL: beenmerg aspiraat moet minimaal 20% onrijpe mestcellen bevatten.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Patiënten die meer dan twee maal progressief waren op behandeling van SM, met

uitzondering van behandelingen die gegeven zijn in het kader van ondersteunende therapie (vb symptoom behandeling).;Patienten die aan agressieve systemische mastocytose lijden in combinatie met eosinofilie en die het fusiegen FIP1L1-PDGFR dragen, tenzij ze eerder een terugkeer of progressieve ziekte hadden op imatinib therapie.;Patienten op imatinib therapie met negatieve KIT D816V mutatie, tenzij ze een terugkeer van de ziekte, resistentie of intolerantie onder imatinib therapie hadden.;Patienten met een pulmonair infiltraat inclusief infiltraten van infectueuze origine.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blindering:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	26-01-2009
Aantal proefpersonen:	3
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	nvt
Generieke naam:	midostaurin

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-06-2008
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-09-2008
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-12-2008
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-01-2009
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-07-2009
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-12-2010
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-12-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-05-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-06-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-02-2013
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-03-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-05-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-02-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-02-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-09-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-10-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-10-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-10-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-01-2017
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-03-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-07-2017
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
EudraCT	EUCTR2008-0002800-4-NL
CCMO	NL23439.042.08