

Een open-label onderzoek ter beoordeling van de veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van AFQ056 bij adolescente patiënten met het fragiele-X-syndroom

Gepubliceerd: 08-05-2013 Laatste bijgewerkt: 24-04-2024

Primair Het evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van AFQ056 op lange termijn bij adolescente patiënten met FXS zoals beoordeeld op basis van: *Incidentie en ernst van bijwerkingen en ernstige bijwerkingen* Veranderingen in vitale functies,...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON38786

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Lange termijn veiligheid en werkzaamheid van AFQ056 bij fragiele-X-syndroom

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Geestelijke achterstandsstoornissen

Synoniemen aandoening

Fragiel X Syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Novartis

Overige ondersteuning: Novartis Pharma B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Fragiel X Syndroom, Interventie studie, mGluR5 antagonist

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

*Incidentie en ernst van bijwerkingen en ernstige bijwerkingen

*Veranderingen in vitale functies, laboratoriumbeoordelingen en ECG's

*Het volgen van de functie van de hypothalamus-hypofyse-bijnier/schildklieras
en mijlpalen in de ontwikkeling bij kinderen

Secundaire uitkomstmaten

*Verandering ten opzichte van de baseline in de totale score en subschaalscores
van de Aberrant Behavior Checklist * Community-uitgave (ABC-C) (door gebruik te
maken van het specifieke FXS algoritme ABC-Cfx).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is het verkrijgen van gegevens over de veiligheid, verdraagbaarheid en doeltreffendheid op de lange termijn van AFQ056 bij geschikt bevonden adolescente patiënten met FXS die hebben deelgenomen aan het onderzoek CAFQ056B2214, het PK-onderzoek CAFQ056B2131, of elk ander onderzoek met AFQ056 bij patienten jonger dan 18 jaar, zolang de patient maar 12 jaar of ouder is wanneer deze start met deelname aan het huidige onderzoek. Mocht goedkeuring van de gezondheidszorginstanties worden verkregen voor het op de markt brengen van het geneesmiddel, dan zullen de gegevens uit dit onderzoek bij labeling worden gebruikt ter ondersteuning van gegevens over de veiligheid op lange termijn.

Doel van het onderzoek

Primair

Het evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van AFQ056 op lange termijn bij adolescente patiënten met FXS zoals beoordeeld op basis van:

- *Incidentie en ernst van bijwerkingen en ernstige bijwerkingen
- *Veranderingen in vitale functies, laboratoriumbeoordelingen en ECG's
- *Het volgen van de functie van de hypothalamus-hypofyse-bijnier/schildklieras en mijlpalen in de ontwikkeling bij kinderen

Secundair

Het evalueren van de doeltreffendheid van de behandeling met AFQ056 op lange termijn zowel bij FM patiënten (met volledige methylering) als PM patiënten (met gedeeltelijke methylering) met FXS zoals beoordeeld op basis van:

- *Verandering ten opzichte van de baseline in de totale score en subschaalscores van de Aberrant Behavior Checklist * Community-uitgave (ABC-C) (door gebruik te maken van het specifieke FXS algoritme ABC-Cfx).

Onderzoeksopzet

Dit is een multicenter, open-label onderzoek met flexibele doses ter evaluatie van de veiligheid en verdraagbaarheid op de lange termijn van AFQ056 bij adolescente patiënten met het fragiele-X syndroom.

Patiënten die bij het betreffende baselinebezoek aan alle inclusiecriteria voldoen en aan geen van de exclusiecriteria, worden opgenomen in het open-label onderzoek en worden getitreerd vanaf een begin dosis van 25 mg b.i.d. met intervallen van één week tot aan een maximum van 100 mg b.i.d. of de hoogst getolereerde dosis als de maximale dosis van 100 mg b.i.d. niet kan worden bereikt. Dosisaanpassingen (dosisverhogingen en -verlagingen) zijn toegestaan voor zover deze nodig zijn om problemen met de verdraagbaarheid tijdens het onderzoek op te lossen en ervoor te zorgen dat patiënten uitkomen bij de beste dosis die door hen goed wordt getolereerd.

Initiële bezoeken (tijdens de titratie) vinden om de twee weken plaats, met tussentijds telefonisch contact. Daarna zal de frequentie van de bezoeken afnemen tot intervallen van 1 maand en daarna 3 maanden tot de 24 maanden van de behandeling zijn bereikt (of tot het onderzoeksgeneesmiddel op de markt komt (welk van beide later plaatsvindt)).

Eén week na beëindiging van de open-label behandelingsperiode brengen patiënten veiligheidshalve een follow-upbezoek.

Onderzoeksproduct en/of interventie

100mg AFQ056 b.i.d. (of 25mg, 50mg of 75mg b.i.d. als 100mg b.i.d. niet kan worden

verdragen)

Inschatting van belasting en risico

De tests die bij dit onderzoek uitgevoerd worden zijn standaard medische tests. Het vervelendste is meestal het laten afnemen van bloed. De risico's van bloedafname kunnen flauwvallen, pijn en/of een blauwe plek zijn. Ook kan de band van de bloeddrukmeter ongemak of een blauwe plek op de bovenarm veroorzaken. In zeldzame gevallen kan er een klein bloedstolsel of infectie op de plaats van de naaldenprik optreden. Tijdens het onderzoek ontvangt de proefpersoon medische zorg. De voordelen van behandeling met AFQ056 zijn nog niet vastgesteld. De informatie uit dit onderzoek kan de proefpersoon of andere mensen met het fragiele-X-syndroom helpen.

Contactpersonen

Publiek

Novartis

Raapopseweg 1
Arnhem 6824 DP
NL

Wetenschappelijk

Novartis

Raapopseweg 1
Arnhem 6824 DP
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Groep 1 patiënten:

* Moeten het CAFQ056B2214 onderzoek of elk ander onderzoek met AFQ056 bij patiënten jonger dan 18 jaar binnen 1 week van de inclusie van het open-label onderzoek hebben afgesloten.

Groep 2 patiënten:

* Moeten aan 1 van de volgende condities voldoen:

o Onderzoek CAFQ056B2214 of elk ander onderzoek met AFQ056 bij patiënten jonger dan 18 jaar afgerond, maar inclusie in het huidige onderzoek is met meer dan 1 week vertraagd

o Voortijdig het onderzoek CAFQ056B2214 of elk ander onderzoek met AFQ056 bij patiënten jonger dan 18 jaar gestopt vanwege intolerantie van de onderzoeksmedicatie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

* Voortijdig stoppen van onderzoek CAFQ056B2214 of elk ander onderzoek met AFQ056 bij patiënten jonger dan 18 jaar vanwege veiligheidsredenen

* Bekend met ernstig zichzelf beschadigend gedrag.

* Bekend met klinisch significante allergieën welke opname of behandeling met corticosteroïden vereisen (bv astma)

* Diagnose kanker in de laatste 5 jaar, met uitzondering van gelokaliseerd huidkanker.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek: 2

Type: Interventie onderzoek

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland
Status: Werving gestopt
(Verwachte) startdatum: 10-12-2013
Aantal proefpersonen: 1
Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Nog niet bekend
Generieke naam: Mavoglurant

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 08-05-2013
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 08-07-2013
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 05-12-2013
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 24-03-2014
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 01-05-2014

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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	EUCTR2011-002379-40-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01433354
CCMO	NL44082.078.13