

Een fase 1/2, gecombineerd, dosisbepalend en gerandomiseerd, open-label, vergelijkend onderzoek naar de werkzaamheid en veiligheid van plerixafor in aanvulling op standaardtherapieën voor de mobilisatie van hematopoëtische stamcellen in het perifere bloed en de daaropvolgende oogst via aferese versus alleen standaard mobilisatietherapieën bij pediatrische patiënten van 1 tot < 18 jaar met vaste tumoren die in aanmerking komen voor autologe transplantaties

Gepubliceerd: 06-01-2014 Laatste bijgewerkt: 23-04-2024

In dit onderzoek willen we nagaan of het toevoegen van het nieuwe medicijn plerixafor aan GCSF bij de mobilisatie van stamcellen leidt tot het oogsten van meer stamcellen uit het bloed en op de langere termijn veiliger en beter is bij kinderen...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON40176

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MOZAIC

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

solide tumor

Aandoening

solide tumoren

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Sanofi-aventis

Overige ondersteuning: Genzyme

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: kinderen, open-label, plerixafor, solide tumoren

Uitkomstmaten**Primaire uitkomstmaten**

Het verschil tussen de 2 behandel armen in het deel van de patiënten dat tenminste een verdubbeling heeft van de CD34+ cellen in het bloed vanaf de ochtend voorafgaand aan de eerste aferesedag tot aan de ochtend na afarese

Secundaire uitkomstmaten

- Aantal dagen dat afarese nodig is om een waarde van $\geq 2 \times 10^6$ CD34+ cellen/kg te bereiken
- CD34+ opbrengst voor iedere afarese

- De totale CD34+ opbrengst
- Percentage van patiënten die aanmerking komen voor transplantatie
- Percentage van patienten met een succesvolle transplantie
- Percentage van patienten met een veilig aantal circulerende rijpe

bloedcellen 3, 6, 12 en 24 maanden na transplantatie

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Plerixafor is in Nederland nog niet geregistreerd voor mobilisatie van stamcellen bij kinderen. Het product is wel goedgekeurd voor mobilisatie van stamcellen bij volwassenen. Men weet dus wel dat het werkt en veilig is voor mobilisatie van stamcellen bij volwassenen maar nog niet zeker of het ook werkt en veilig is voor kinderen

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek willen we nagaan of het toevoegen van het nieuwe medicijn plerixafor aan GCSF bij de mobilisatie van stamcellen leidt tot het oogsten van meer stamcellen uit het bloed en op de langere termijn veiliger en beter is bij kinderen vergeleken met de huidige standaardbehandeling, namelijk met alleen G-CSF

Onderzoeksopzet

Dit is een fase 2 open-label, vergelijkend, gerandomiseerd onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

Groep 1: standaard GCSF met plerixafor Groep 2: standaard GCSF In een verhouding van 2:1

Inschatting van belasting en risico

De onderstaande bijwerkingen worden waargenomen bij volwassenen die deelnemen aan klinische onderzoeken naar plerixafor. Waarschijnlijk zullen vergelijkbare bijwerkingen bij kinderen worden waargenomen, maar dat weten we niet zeker.

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen, waargenomen bij meer dan 1 op de 10

patiënten:

diarree, misselijkheid (zich misselijk voelen), roodheid of irritatie op de injectieplek

Vaak voorkomende bijwerkingen, waargenomen bij tussen de 1 en 10 van de 100 patiënten:

hoofdpijn, duizeligheid, zich moe of niet lekker voelen, moeite met slapen, winderigheid, verstopping, maagzuur, braken, buiksymptomen zoals pijn, zwelling of ongemak, droge mond, verdoofd gevoel rondom de mond, zweten, algemene roodheid van de huid, gewrichtspijn, pijn in spieren en botten.

Weinig voorkomende bijwerkingen, waargenomen bij tussen 1 en 10 van de 1.000 patiënten:

allergische reacties zoals huiduitslag, zwelling rondom de ogen, kortademigheid en bewustzijnsverlies.

Contactpersonen

Publiek

Sanofi-aventis

Kampenringweg 45E
GOUDA 2803PE
NL

Wetenschappelijk

Sanofi-aventis

Kampenringweg 45E
GOUDA 2803PE
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Leeftijd 1 tot <18 jaar
2. Ewing's sarcoom, weke delen sarcoom, lymfoom, neuroblastoom, of andere maligniteit inclusief hersen tumoren (exclusief elke vorm van leukemie) welke een behandeling vereist met hoge dosering chemotherapie en autologe transplantatie als rescue therapie
3. Patiënt komt in aanmerking voor autologe transplantatie
4. Hertsteld van alle acute significante bijwerkingen van eerdere behandeling met chemotherapie
5. Adequate performance status
 - voor patiënten ≥ 16 jaar, is dit gedefinieerd als Karnofsky score > 60
 - voor patiënten < 16 jaar, is gedefinieerd als Lansky score > 60
6. Absolute neutrofiel waarde $> 0.75 \times 10^9/L$
7. bloedplaatjes $> 50 \times 10^9/L$
8. berekende creatinine klaring (gebruik makend van de Schwartz methode):
 - tijdens fase 2 van het onderzoek, $> 60 \text{ mL/min/1.73m}^2$
9. lever waarden $< 3 \times$ hoogste normaal waarde
10. De patiënt en zijn of haar ouders/ voogd geven toestemming en hebben het toestemmingsformulier getekend.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Elke vorm van leukemie
2. Een co-morbiditeit, zoals ventricular arrhythmieën, welke naar het oordeel van de onderzoeker, de patiënt blootstelt aan een hoog risico voor complicaties door de behandeling
3. Al eerdere stam cel transplantatie
4. Patiënten met persistent hoge betrokkenheid van de ziekte in het beenmerg voorafgaand aan mobilisatie.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	10-06-2014
Aantal proefpersonen:	3
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	mozobil
Generieke naam:	plerixafor
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-01-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-04-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	24-10-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-01-2015
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	EUCTR2010-019340-40-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01288573
CCMO	NL47333.078.13