

Een fase III openlabel farmacokinetiek, werkzaamheid en veiligheidsstudie van rVIII-SingleChain in een pediatrische populatie met ernstige hemofilie A.

Gepubliceerd: 16-12-2013 Laatste bijgewerkt: 24-04-2024

Het effect van rVIII-SingleChain evalueren in de behandeling van ernstige en minder ernstige bloedingen gebaseerd op de onderzoeker's 4 punts assessments schaal.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Bloed- en lymfestelselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON40464

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CSL627_3002

Aandoening

- Bloed- en lymfestelselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

Hemofilie A

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: CSL Behring GmbH

Overige ondersteuning: industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: CSL627_3002, Hemofilie A, Recombinant Factor VIII (rVIII)

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het effect van rVIII-SingleChain evalueren in de behandeling van ernstige en minder ernstige bloedingen gebaseerd op de onderzoeker's 4 punts assessments schaal.

Secundaire uitkomstmaten

- * Evalueren van de bleedingsratio op jaarbasis tijdens profylactische behandeling
- * Evalueren van de bleedingsratio op jaarbasis tijdens on-demand behandeling
- * Evalueren van de proportie van bleedingsepisodes die 1, 2, 3 of meer dan 3 infusies van rVIII-SingleChain nodig hebben om hemostase te verkrijgen
- * Evalueren van de consumption van rVIII-SingleChain

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Hemofilie A is een zeldzame maar serieuze X-gelinkt recessieve bleedingsziekte die mannen kunnen krijgen en wordt gekenmerkt door een deficientie in stollingsfactor VIII (FVIII). Individuen met ernstige hemofilie bloeden vaak spontaan, dat is zonder een bekend trauma of andere oorzaak. Deze bleeding is vaak in de gewrichten en spieren.

Doel van het onderzoek

Het effect van rVIII-SingleChain evalueren in de behandeling van ernstige en minder ernstige bloedingen gebaseerd op de onderzoeker's 4 punts assessments schaal.

Onderzoeksopzet

Dit is een internationale, multicenter, open-label studie om de effectiviteit, veiligheid en PK profiel van rVIII-SingleChain te evalueren in pediatrische patiënten met ernstige hemofilie A (FVIII concentratie van <1%).

Onderzoeksproduct en/of interventie

rVIII-SingleChain wordt geleverd als gelyofiliseerd poeder dat gereconstitueerd dient te worden met oplosmiddel (steriel water voor injectie). Na reconstitutie wordt rVIII-SingleChain toegediend als een IV-infuus.

Inschatting van belasting en risico

Het geassocieerde voordeel van behandeling met rVIII-SingleChain weegt op tegen de mogelijke risico's voor de proefpersonen die deelnemen aan dit onderzoek.

Contactpersonen

Publiek

CSL Behring GmbH

Emil-von-Behring-Str. 76
Marburg 35041
DE

Wetenschappelijk

CSL Behring GmbH

Emil-von-Behring-Str. 76
Marburg 35041
DE

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

* Diagnose van ernstige hemofilie A, gedefinieerd als $<1\%$ Factor VIII (FVIII) concentratie (FVIII:C) gedocumenteerd in de medische status, ;* Mannen <12 jaar, ;* Proefpersonen die 50 toedieningsdagen met een FVIII product zijn behandeld, ;* Eerdere PK data (minimaal oplopend herstel en halfwaarde tijd) ten opzichte van eerdere FVIII blootstelling voor proefpersonen die participeren in het PK deel, ;* Elk probleem dat, naar het oordeel van de onderzoeker, zou het onderwerp niet geschikt voor deelname aan het onderzoek te maken.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

* Een geschiedenis van of huidige FVIII inhibitoren.
* Gebruik van een ander experimenteel geneesmiddel binnen 30 dagen voorafgaand aan de eerste rVIII-SingleChain toediening, ;* gebruik van een cryoprecipitaat, bloed of plasma binnen 30 dagen voorafgaand aan rVIII-SingleChain toediening, ;* Bekende hypergevoeligheid (allergische reactie of anafylaxie) voor een FVIII product of hamster eiwit., ;* Proefpersoon die momenteel IV immunomodulerende middelende gebruikt, zoals immunoglobuline of chronische systemische corticosteroïde behandeling, ;* Proefpersoon met serum aspartaat aminotransferase (AST) of serum alanine aminotransferase (ALT) waarden > 5 keer ULN bij screening, ;* Proefpersonen met een serum kreatinine waarde van meer dan $2 \times$ ULN bij screening, ;* Bewijs van trombose, inclusief diepe veneuze trombose, beroerte, pulmonair embolisme, myocard infarct en arterieel embolus gedurende de drie maanden voorafgaand aan dag 1; * Een levensbedreigende bloedingsepisode meegemaakt of een zware operatie of een orthopedisch chirurgische procedure heeft doorgemaakt gedurende de 3 maanden voorafgaand aan rVIII-SingleChain toediening.;* Deelgenomen aan een andere interventionele klinische studie binnen 30 dagen voor de eerste toediening van rVIII-SingleChain of op enig moment tijdens het onderzoek. ;* Alcohol, drugs of medicijnen misbruik binnen 1 jaar vóór de studie. ;* Momenteel is het ontvangen van een therapie tijdens de studie niet toegestaan.

* Bekende of vermoede overgevoeligheid voor rVIII-SingleChain of andere bestanddelen van rVIII-SingleChain

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	17-09-2014
Aantal proefpersonen:	12
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	CSL627
Generieke naam:	FVIII

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-12-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-05-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-07-2014
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-07-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-09-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-09-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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	EUCTR2012-001336-65-NL
CCMO	NL47150.018.13