

een fase 1, gerandomiseerd, dubbel-blind, placebogecontroleerd, dosisescalatied studie om de veiligheid, tolereerbaarheid en farmacokinetiek vast te stellen van een enkelvoudige dosering van migalastat hydrochloride in gezonde vrijwilligers met een open label, gerandomiseerde, tweewegs crossover arm

Gepubliceerd: 04-03-2014 Laatste bijgewerkt: 20-04-2024

Primaire doelen:* Bepalen van de farmacokinetiek (PK) van migalastat van een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers.* Beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers....

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

Samenvatting

ID

NL-OMON40853

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Migalastat hydrochloride SAD studie

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten

Synoniemen aandoening

lysosomale stapelingsziekten, ziekte van Fabry

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Amicus Therapeutics, Inc.

Overige ondersteuning: Farmaceutische industrie

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: fase 1, intraveneus, migalastat hydrochloride, veiligheid

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

1. Plasma farmacokinetiek
2. Veiligheid wordt beoordeeld door middel van de incidentie van bijwerkingen
(inclusief lokale reacties door het infuus, vitale functies, klinische laboratorium testen, ECG en lichamelijk onderzoek)

Secundaire uitkomstmaten

1. plasma farmacokinetiek
2. Urinaire farmacokinetiek

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Migalastat hydrochloride is een nieuw middel dat mogelijk gebruikt kan worden bij de behandeling van de ziekte van Fabry. De ziekte van Fabry is een zeldzame ziekte waarbij een mutatie zorgt voor een verminderde activiteit van een bepaald enzym. Migalastat hydrochloride bindt aan dit enzym, waardoor de activiteit weer toeneemt. Migalastat hydrochloride bevindt zich in de ontwikkelingsfase en is nergens geregistreerd als geneesmiddel, maar is in andere studies al eerder aan mensen toegediend als een orale capsule.

Doel van het onderzoek

Primaire doelen:

- * Bepalen van de farmacokinetiek (PK) van migalastat van een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers.
- * Beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers.

Secondaire doelen:

- * Vaststellen van de dosisproportionaliteit van migalastat beoordelen een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers (geplande doses zijn 0,3, 1,0 en 10,0 mg / kg)
- * Bepalen van de urinaire excretie van onveranderde migalasta een enkelvoudig 2 uur IV infuus in gezonde vrijwilligers.
- * Bepalen van de biologische beschikbaarheid van migalastat in plasma

Onderzoeksopzet

Dit is een studie waarbij de studiemedicatie voor het eerst intraveneus aan de mens wordt toegediend, met een gerandomiseerd, dubbelblind, placebo-gecontroleerd design, met enkelvoudige oplopende doseringen.

Cohort 4 is een open-label, gerandomiseerde, tweewegs crossover arm.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Het onderzoek bestaat uit 1 periode waarin u eenmaal migalastat hydrochloride ontvangt of eenmaal placebo ontvangt. Migalastat hydrochloride en placebo worden intraveneus gegeven als een 2 uur durend infuus. In de tabel hieronder kunt u zien hoe de doseringen over de groepen verdeeld zijn. De dosis zal alleen worden verhoogd als de lagere dosis in de vorige groep goed verdragen is en na goedkeuring van de Medisch Ethische Toetsingscommissie. Indien de bijwerkingen naar het oordeel van de onderzoekers onaanvaardbaar zijn, zal het onderzoek worden stopgezet. De planning van het onderzoek is als volgt: Groep Dag Behandeling Hoe vaak 1 1 migalastat hydrochloride 0.3 mg/kg éénmaal 2 1 migalastat hydrochloride 1.0 mg/kg* éénmaal 3 1 migalastat hydrochloride 10 mg/kg* éénmaal *Deze dosering kan worden aangepast worden op basis van de resultaten van de vorige groepen Cohort 4 bestaat uit 2 periodes. Gedurende elke periode ontvangt de vrijwilliger eenmaal 150 mg migalastat als een 2 uur durend infuus en eenmaal als capsule. De volgorde van de toedieningen wordt bepaald door het lot, zoals met het dobbelen van een dobbelsteen

Inschatting van belasting en risico

- mogelijke bijwerkingen zoals omschreven in sectie E9
- bloedafnames via venapunctie
- bloedafnames via een veneuze canule

- intraveneuze injectie
- voor- en nacontrole
- opname in de kliniek
- studie activiteiten: lichamelijk onderzoek, vitale functies, ECG, en evaluatie van de injectieplaats

Contactpersonen

Publiek

Amicus Therapeutics, Inc.

Cedar Brook Drive 1
Cranbury 08512
US

Wetenschappelijk

Amicus Therapeutics, Inc.

Cedar Brook Drive 1
Cranbury 08512
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelnemers eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Gezonde mannelijke en vrouwelijke vrijwilligers
- 18-45 jaar, inclusief
- BMI: 18.5 * 29.9 kg/m², inclusief
- niet-rokend

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Lijdend aan hepatitis B, hepatitis C, kanker of HIV/AIDS.

Indien gedurende de 60 dagen voorafgaand aan de dosering van dit onderzoek aan een ander geneesmiddelenonderzoek is deelgenomen.

Indien gedurende de 60 dagen voor start van dit onderzoek bloed (>500 mL) is gegeven.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	11-03-2014
Aantal proefpersonen:	31
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	nvt idem
Generieke naam:	nvt

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-03-2014

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 06-03-2014

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 22-04-2014

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 23-04-2014

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 22-05-2014

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

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	EUCTR2013-005553-75-NL
CCMO	NL48251.056.14