

Een vergelijking van VRS-317, een langwerkend humaan groeihormoon, met dagelijks recombinant groeihormoon (rhGH) in een fase 3, gerandomiseerd, één jaar durend, open label, multicentrisch, niet-inferioriteits onderzoek bij kinderen in de prepuberteit met een groeihormoon deficiëntie.

Gepubliceerd: 23-03-2015 Laatste bijgewerkt: 14-04-2024

Primair doel:- vergelijken van de veiligheid en effectiviteit van onderhuids somavaratan en dagelijks rhGH gedurende 12 maanden behandeling. Secundair doel:- het evalueren en vergelijken van de farmacodynamische respons (IGF-I, IGF binding protein-3...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON42218

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

VELOCITY studie

Aandoening

- Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen

Synoniemen aandoening

Groeihormoonstoornis, kleine gestalte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Versartis Inc.

Overige ondersteuning: sponsor

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: groeihormoon, kind, tekort

Uitkomstmaten**Primaire uitkomstmaten**

Primair effectiviteits uitkomstmaat:

Jaarlijks lengtesnelheid (cm/jr) na 12 maanden behandeling met somavaratan
danwel dagelijks recombinant groeihormoon

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire effectiviteits uitkomstmaat

-Respons van ICG-I en IGFBP-3 op de toediening van de onderzoeksmedicatie
-veranderingen in standaard deviatiescores voor lengte, lichaamsgewicht, BMI,
botleeftijd

Toelichting onderzoek**Achtergrond van het onderzoek**

Groeihormoontekort in kinderen kan veroorzaakt worden door een variëteit aan

genetische, neoplastische, ontstekings, post-traumatische en iatrogene oorzaken. Patiënten met een onbehandeld groeihormoontekort in de jeugd zullen een belangwekkende groeiachterstand hebben met in veel gevallen een bereikte volwassen lengte van niet meer dan 1.52 m. Verder ontstaat er een abnormale lichaamssamenstelling met afgenomen mineralisatie van het bot, afgenomen vetvrije massa, en toegenomen vetmassa. Behandeling met exogene rhGH start een periode van versnelde of 'inhaal' groei die indien begonnen op jonge leeftijd het bereiken van een normale volwassen lengte en lichaamssamenstelling toelaat.

Somavaratan is een analoog van recombinant humaan groeihormoon, ontwikkeld om over een langere periode een actief medicatiegehalte in het lichaam te onderhouden dan met de huidige dagelijkse therapie. De dagelijks therapie is momenteel de enige toegelaten behandeling voor volwassenen en kinderen met een groeihormoontekort. Langwerkend GH geeft mogelijkheden om met minder injecties een betere therapietrouw en daarmee behandelingsresultaat te bereiken.

Doel van het onderzoek

Primair doel:

- vergelijken van de veiligheid en effectiviteit van onderhuids somavaratan en dagelijks rhGH gedurende 12 maanden behandeling.

Secundair doel:

- het evalueren en vergelijken van de farmacodynamische respons (IGF-I, IGF binding protein-3 (IGFBP-3), growth hormone binding protein (GHBP en acid labile subunit (ALS)), botleeftijd, gewicht, BMI, lengte SDS, en anti-medicatie antilichaam (ADA) en neutralizing antilichaam (NAb) respons.

Onderzoeksopzet

Dit is een gerandomiseerd, multicentrisch open label onderzoek waarbij commercieel beschikbaar recombinant groeihormoon vergeleken wordt met onderzoeksmedicatie in een parallelle groep.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Deelnemers ontvangen gedurende 1 jaar een dagelijkse behandeling met een commercieel verkrijgbaar recombinant groeihormoon of een behandeling met VRS-317 iedere 15 dagen.

Inschatting van belasting en risico

Belasting en risico's:

Kans op pijn, blauwe plekken en infectie in verband met extra bloedafnames vergeleken met de standaardbehandeling, aanvullende blootstelling aan straling van ten hoogste 1 mSV in verband met een extra röntgenfoto van de hand, het onderzoek vereist het thuis bijhouden van een medicatie logboek. Tweemaal een

ECG; ECG plakkers kunnen een lichte uitslag van voorbijgaande aard veroorzaken.

Voordeel:

Toename in groei die vergelijkbaar is met de toename bij een standaardbehandeling. Indien de deelnemer toegewezen wordt aan de somavaratan groep minder frequente injecties (tweemaal per maand) ten opzichte van een standaardbehandeling (dagelijks).

Contactpersonen

Publiek

Versartis Inc.

4200 Bohannon Drive Suite 250
94025 Menlo Park
US

Wetenschappelijk

Versartis Inc.

4200 Bohannon Drive Suite 250
94025 Menlo Park
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Chronologische leeftijd ≥ 3.0 jaar en ≤ 10.0 (meisjes) en ≤ 11.0 (jongens).;2. Pre-puberteitfase: afwezigheid van borstontwikkeling bij meisjes, testikel volume < 4.0 mL bij jongens.;3. GHD diagnose of GHD vastgesteld middels twee of meer GH stimulatie test resultaten ≤ 10.0 ng/mL.;4. Lengte SDS ≤ -2.0 tijdens de keuring.;5. Gewicht voor lengte $\geq 1/10$ e percentiel.;6. IGF-I SD score ≤ -1.0 tijdens keuring.;7. Vertraagde botleeftijd (≥ 6 maanden vastgesteld door een central reader). Röntgenfoto van de linkerhand moet binnen 90 dagen voorafgaand aan de keuring of tijdens de keuring verkregen zijn. ;8. Normaal schilkklierfunctie test tijdens keuring (of minimaal 4 weken thyroxine substitutie therapie voorafgaand aan onderzoeksmedicatie toediening).;9. Beschikbaarheid van bijnierfunctie testresultaten tijdens de keuring (of in de voorgaande 6 maanden) voor alle deelnemers die niet minimaal 4 weken glucocorticosteroïde substitutie therapie voorafgaand aan onderzoeksmedicatie toediening hebben gehad ;10. Aandoening die gerelateerd zijn aan de GH tekort moeten minstens 6 maanden stabiel zijn voorafgaand aan de keuring.;11. Wettelijk vertegenwoordigers die bereid en in staat zijn om informed consent te geven

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Voorgaande behandeling met een groeibevorderend middel (bv. GH, IGF-I, GH releasing hormone (GHRH), gonadotropine, geslachtshormonen). Tot 10 dagen blootstelling aan een groeibevorderend middel ten behoeve van diagnostiek is toegestaan indien langer dan 30 dagen voor de keuring toegediend.;3. Chromosomale aneuploidie, belangwekkende genmutaties (anders dan de veroorzaker van GHD) of vastgestelde diagnose van een bekend syndroom.;4. Geboortegewicht en/of geboortelengte minder dan een 5de percentiel voor gestational age op basis van gestational age groeicurves..;5. ADHD (Attention Deficit Hyperactivity Disorder) diagnose, het gebruik van ADHD medicatie, of de verwachting dat ADHD medicatie gestart wordt tijdens deelname aan het onderzoek.;6. Dagelijks gebruik van ontstekingsremmende doseringen glucocorticoiden.;7. Voorgeschiedenis van leukemie, lymfoom, sarcoom of kanker.;8. Behandeling met een onderzoeksmedicament in de 30 dagen voorafgaand aan de keuring.;9. Bekende allergie voor een van de stoffen in de toedieningsvorm van de onderzoeksmedicatie.;10. Oogbevindingen die suggestief zijn voor verhoogde intracraniale druk en/of retinopathie tijdens de keuring.;11. Belangwekkende afwijking aan de wervelkolom waaronder scoliose, kyfose en spina bifida.;12. Belangwekkende afwijkingen in labbepalingen tijdens de keuring.;13. Huidige sociale omstandigheden die afronding van de onderzoeksactiviteiten belemmeren. (bv. geplande verhuizing naar een vergelegen locatie);14. Voorgeschiedenis van pancreatitis of niet-gediagnosticeerde chronische buikpijn.;15. Voorgeschiedenis van bestraling van wervelkolom of het gehele lichaam.;16. Deelnemers met andere hypofysehormoon tekort die onvoldoende behandeld wordt.;17. Onbereidheid om consent te geven voor deelname aan alle onderzoeksactiviteiten.;18. Onbereidheid om toewijzigingen van doses te accepteren.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-04-2015
Aantal proefpersonen:	4
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Genotropin
Generieke naam:	Somatropine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	somavaratan
Generieke naam:	VRS-317

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-03-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-09-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-10-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-10-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-01-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-06-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-06-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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

EudraCT

ClinicalTrials.gov

CCMO

ID

EUCTR2014-004525-41-NL

NCT02339090

NL52440.091.15