

PHYOS: Een observationele studie met patiënten met Primaire Hyperoxalurie type1

Gepubliceerd: 15-12-2015 Laatst bijgewerkt: 20-04-2024

Primaire Doelstelling: • Om de gegevens met betrekking tot veranderingen te verzamelen in oxalaat, glycolaat, en andere metabolieten bij patiënten met primaire hyperoxalurie type 1 (PH1), die mogelijk geschikt zijn voor deelname aan klinisch...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Overige aandoening
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON42592

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

DCR-PH1-501

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

PH1

Aandoening

autosomal recessive disorders

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Overige ondersteuning: Dicerna Pharmaceuticals

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Observationeel, Primaire Hyperoxalurie type1

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

NVT

Secundaire uitkomstmaten

NVT

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

PHYOS is een observationele studie waarin gegevens verzameld worden betreffende wijzigingen in oxalaat, glycolaat en andere biochemische parameters bij patiënten met PH1 die kunnen geschikt zijn voor toekomstige wetenschappelijke studie van DCR-PH1: een nieuw onderzoeks middel ontwikkeld voor de behandeling van PH1.

Doel van het onderzoek

Primaire Doelstelling:

- Om de gegevens met betrekking tot veranderingen te verzamelen in oxalaat, glycolaat, en andere metaboliëten bij patiënten met primaire hyperoxalurie type 1 (PH1), die mogelijk geschikt zijn voor deelname aan klinisch onderzoek met DCR PH1.

Secundaire Doelstellingen

- Het verzamelen van gegevens met betrekking tot de klinische verschijnselen van PH1
- Het verzamelen van gegevens over vochtinname met behulp van een patiënten dagboekje voor zelfrapportage
- Het verzamelen van gegevens over de kwaliteit van leven bij patiënten met

PH1

Onderzoeksopzet

Dit is een observationele studie: prospectieve data wordt verzameld tot 6 maanden na start studie, waarbij de patienten gezien worden in de kliniek voor Screening een een Dag 1, Maand 4 en Maand 6 visite ($\pm$ 15 dagen).

Inschatting van belasting en risico

Er worden geen onderzoeksmiddelen toegediend tijdens deze studie

De afname van bloedmonsters kan op de injectieplaats milde pijn, roodheid, blauwe plekken en of irritatie veroorzaken.

Contactpersonen

Publiek

Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Cambridgepark Drive 87
Cambridge MA 02140
US

Wetenschappelijk

Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Cambridgepark Drive 87
Cambridge MA 02140
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Diagnose van PH1, bevestigd door genotypering voor mutaties in het gen AGXT.
- Urine oxalaat uitscheiding ≥ 0.7 mmol per 1,73 m² lichaamsoppervlak (BSA) in 24 uur.
- Geschatte glomerulaire filtratiesnelheid (eGFR) ≥ 40 ml / min per 1,73 m² BSA

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Een eerder doorgemaakte nier- en / of lever transplantatie, of patiënten die dialyse ondergaan.
- Zwangerschap of borstvoeding ten tijde van de screening of randomisatie.
- Elke belangrijke ziekte, dysfunctioneren van organen, of andere aandoening die, naar het oordeel van de onderzoeker, zou interfereren met het vermogen van de patiënt om te voldoen aan de vereisten van het protocol, inclusief de mogelijkheid om alle bezoeken na te komen en het ondergaan alle assessments.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 14-01-2016

Aantal proefpersonen: 7
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 15-12-2015
Soort: Eerste indiening
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
CCMO	NL54393.018.15