

Een lange termijn open-label, veiligheid en superieur effectiviteit onderzoek van cysteamine bitartraat vertraagde afgifte capsules (RP103) in patienten met cystinose

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

Vergelijk van steady-state cysteamine-door het hanteren van aantal witte bloedcel niveaus tussen Cystagon® en RP103 gedurende een periode van 3 maanden voor elke behandelings periode.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON43669

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

RP103-07

Aandoening

- Wittebloedcelaandoeningen

Synoniemen aandoening

cystinose, Lignac-Fanconi Syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Raptor Pharmaceuticals Inc.

Overige ondersteuning: Raptor Pharmaceuticals Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: - cysteamine bitartraat, - cystinose, - vertraagde afgifte capsules

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Het aantonen van de superioriteit van RP103 versus Cystagon® in het controleren van witte bloedcel cystine (WBC) niveaus gedurende 24 uur bij patienten met cystinose.
- Het onderzoeken van veiligheid op lange termijn en de verdraagzaamheid van RP103.

Secundaire uitkomstmaten

- Het vergelijken van aantal witte bloedcellen cystine metingen verzorgt door een centraal laboratorium versus de site's lokale (regionale, niet verbonden aan de klinische onderzoek) laboratoria.
- Het onderzoeken van de kwaliteit van leven en slaap op lange termijn gebruikmakend van instrumenten geschikt voor de leeftijd van proefpersoon en regio (VS of Europa).
- Het onderzoeken van dosering compliance via twee verschillende cysteamine bitartraat samenstellingen, Q6H met onmiddellijke vrijgifte Cystagon® versus Q12H vertraagde afgifte RP103.
- Het onderzoeken van halitose gedurende Cystagon® en RP103 behandeling in een subgroep van proefpersonen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Cystinose is een autosomaal recessief metabolisme geboorteafwijking, waarin de transport van cystine uit de lysosomen is verlaagd of afwezig. Cystinose is een zeldzame ziekte, die wordt gekarakteriseerd door accumulatie van cystine en formatie van kristallen, die verschillende organen beschadigen, in het bijzonder de nier, wat leidt tot renale tubulaire Fanconi Syndroom en progressieve glomerulaire falen, met als eindstadium nierfalen rond het eerste decennium.

Doel van het onderzoek

Vergelijk van steady-state cysteamine-door het hanteren van aantal witte bloedcel niveaus tussen Cystagon® en RP103 gedurende een periode van 3 maanden voor elke behandelings periode.

Onderzoeksopzet

Dit is een lange termijn, open-label studie op gebied van veiligheid, verdraagzaamheid en effectiviteit van Cystagon® en RP103 bij kinderen en volwassen proefpersonen met cystinose. Proefpersonen van 12 jaar en ouder met een gemiddeld aantal witte bloedcel cystine niveau level > 1 nmol * cystine/mg eiwit van minimaal twee metingen in de afgelopen 2 jaar, zullen behandeld worden met hun huidige dagelijkse dosis van Q6H Cystagon® gedurende 3 maanden (met geen dosis aanpassingen) gevolgd door Q12H RP103 met een start van hun dagelijkse dosis van 70% van hun Cystagon® dosis gedurende minimaal 4 maanden (met alleen toegestane dosis toenames in de eerste maand van RP103 gebruik).

Onderzoeksproduct en/of interventie

Gebruik van medicatie; RP103.

Inschatting van belasting en risico

- aantal bloedafnames: Op iedere visite wordt bloed afgenomen. Hoeveelheid is afhankelijk van de visite, tussen de 10 en 20 ml per keer.
- aantal bezoeken bij de arts/onderzoeker;Minimaal 8 bezoeken tijdens de studie, en daarna 3-maandelijks visites met een totaal maximum van 24 maanden.
- lichamelijk onderzoek: standaard lichamelijk onderzoek op iedere visite, inclusief een ECG.
- aantal en soort vragenlijsten en/of dagboekjes: Op iedere visite wordt een dagboekje bekeken. vragenlijsten mbt Kwaliteit van Leven, Vermoeidheid en een

VAS score voor slikklachten.

-lichamelijk of psychisch ongemak: De bloedafnames zijn wellicht vervelend. De PK/PD afnames op de vroege ochtend en/of late avond kunnen ook ongemak veroorzaken.

- Er worden geen andere bijwerkingen verwacht dan de bekende bijwerkingen die al bekend zijn bij het gebruik van Cystagon.

-De overgang van Cystagon naar RP103 zal naar verwachting een betere kwaliteit van leven geven, aangezien er door de gunstigere inname tijden een betere nachtrust verwacht wordt. Ook de reductie van het aantal pillen per inname is waarschijnlijk een verbetering voor de patient.

Contactpersonen

Publiek

Raptor Pharmaceuticals Inc.

Hamilton Landing, Suite 100 7
Novato CA 94949
US

Wetenschappelijk

Raptor Pharmaceuticals Inc.

Hamilton Landing, Suite 100 7
Novato CA 94949
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Man of vrouw met een gedocumenteerde diagnose van cystinose.
2. Het hebben van een stabiele dosis van Cystagon® voor minimaal 21 dagen voor de screening.
3. Aantal witte bloedcel cystine niveau > 1 nmol * cystine/mg eiwit gemiddelde van minimaal 2 metingen geïncubeerd in het afgelopen twee jaar voor de screening.
4. Geen klinisch significante veranderingen in lever functie tests, dit is 1,5 keer ULN voor ALT en AST, en/of 1,5 keer ULN voor totale bilirubine, binnen 6 maanden voor de screening.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Jonger dan 12 jaar.
2. Huidige geschiedenis van de volgende condities of ieder andere gezondheidsprobleem, dat er voor zorgt, naar de mening van de investigator, onveilig is voor deelname aan de studie:
 - Inflammatoire darmziekten, mits actief of eerdere kleine resectie van een darm;
 - Hart problemen (bijvoorbeeld myocard infarct, hartfalen, instabiele arritmie of slecht gecontroleerde hypertensie) in de afgelopen 90 dagen voor de screening;
 - Actieve bloedstoornis in de afgelopen 90 dagen voor de screening;
 - Geschiedenis van een kwaadaardige ziekte in de afgelopen 2 jaar voor de screening.
3. Hemoglobine niveau van < 9 g/dL tijdens de screening of, naar het oordeel van de Investigator, een hemoglobine niveau dat het onveilig maakt voor participatie in de studie.
4. Bekende hypersensitiviteit voor cysteamine en penicillamine.

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:	16-07-2014
Aantal proefpersonen:	6
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Cystagon
Generieke naam:	Cysteamine Bitartraat
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	RP103
Generieke naam:	Cysteamine Bitartraat

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-04-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-08-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-01-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	21-01-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-02-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-04-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-02-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-03-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-06-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-07-2016
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	ID
Ander register	NCT01733316
EudraCT	EUCTR2012-002773-64-NL
CCMO	NL41935.091.13