

2-STEP studie: onderzoek naar de veiligheid en verdraagbaarheid van 2-Iminobiotin bij pasgeborenen met matig/ernstig zuurstoftekort bij de geboorte, die al behandeld worden met koeling

Gepubliceerd: 19-01-2015 Laatste bijgewerkt: 21-04-2024

Onderzoeken van de veiligheid, verdraagbaarheid en het farmacokinetische profiel van 2-Iminobiotin in combinatie met therapeutische hypothermie.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Congenitale en peripartale neurologische aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON43724

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

2-STEP

Aandoening

- Congenitale en peripartale neurologische aandoeningen

Synoniemen aandoening

perinataal zuurstoftekort; zuurstofgebrek rondom de geboorte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, Neurophyxia BV, Subsidie van de producent van 2-Iminobiotin

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: 2-Iminobiotin, farmacokinetiek, perinatale asfyxie, veiligheid

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De veiligheid, de verdraagbaarheid en het farmacokinetische profiel van 2-Iminobiotin in combinatie met therapeutische hypothermie.

Secundaire uitkomstmaten

- Korte termijn effectiviteit gedefinieerd als de Lac/NAA ratio gemeten met MRS op dag 3-7 na geboorte en het percentage overlevende patiënten met een normaal aEEG 60 uur na geboorte

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Perinatale asfyxie is een zeldzame maar ernstige en levensbedreigende aandoening. Sinds de introductie van therapeutische hypothermie als standaard behandeling zijn de uitkomsten van deze patiënten verbeterd, maar nog steeds blijkt dat bijna de helft van de patiënten overlijdt of ernstige blijvende neurologische schade houdt. Additionele neuroprotectieve behandeling is daarom gewenst. 2-Iminobiotin is in verschillende diermodellen effectief gebleken in het beperken van de neurologische schade na perinatale asfyxie. Tevens is het veilig gebleken in zowel volwassen als neonatale diermodellen alsmede in gezonde vrijwilligers en in een kleine groep neonaten met perinatale asfyxie die niet gekoeld werden.

Doel van het onderzoek

Onderzoeken van de veiligheid, verdraagbaarheid en het farmacokinetische

profiel van 2-Iminobiotin in combinatie met therapeutische hypothermie.

Onderzoeksopzet

Open label fase II onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

Geen, alle proefpersonen worden behandeld met 2-Iminobiotin in additie op de standaard behandeling

Inschatting van belasting en risico

De extra belasting voor proefpersonen in dit onderzoek is minimaal en staat de standaard behandeling niet in de weg. De risico's van toediening van 2-Iminobiotin worden als minimaal ingeschat aangezien tot op heden geen relevante bijwerkingen geconstateerd zijn. Gezien de kwetsbare populatie wordt de risico-classificering verhoogd naar *matig* met een overeenkomstig monitoringsplan.

Op individueel niveau kan toediening van 2-Iminobiotin een positief therapeutisch effect hebben. Op groepsniveau komt meer informatie beschikbaar over farmacokinetiek en veiligheid van 2-Iminobiotin, wat van groot belang is voor vervolgstudies.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
Utrecht 3584EA
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
Utrecht 3584EA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Neonaten geboren na een zwangerschapsduur van * 36 tot <44 weken die in aanmerking komen voor therapeutische hypothermie
2. Mogelijkheid tot het starten van de behandeling binnen 12 uur na geboorte

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Onmogelijkheid tot het plaatsen van een centrale lijn (centrale umbilicale veneuze catheter of percutane centraal veneuze catheter, bij voorkeur met meerdere lumina) voor het toedienen van de medicatie of het plaatsen van een arteriële lijn voor het afnemen van bloedmonsters.
2. Ernstige congenitale malformaties, in het bijzonder malformaties die een effect kunnen hebben op de renale functie.

Onderzoekopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland
Status: Werving gestopt
(Verwachte) startdatum: 07-09-2015
Aantal proefpersonen: 12
Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: nvt
Generieke naam: 2-Iminobiotin

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 19-01-2015
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 15-04-2015
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 02-06-2016
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 08-07-2016
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Goedgekeurd WMO
Datum: 26-07-2016
Soort: Amendement

Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-09-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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	EUCTR2014-004265-25-NL
CCMO	NL50996.041.14