

Een multicentrische vervolgstudie met open label ter beoordeling van de veiligheid op lange termijn van Zorblisa (SD-101-6.0) bij patiënten met epidermolysis bullosa

Gepubliceerd: 02-03-2015 Laatst bijgewerkt: 14-04-2024

Het doel is het beoordelen van de veiligheid op lange termijn van het topische gebruik van ZORBLISA bij patiënten met epidermolysis bullosa (EB).

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Epidermale en dermale aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON43935

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

SD-006 Open Label Extensie

Aandoening

- Epidermale en dermale aandoeningen

Synoniemen aandoening

Eerfelijke bindweefselziekte; Erfelijke huidaandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Scioderm Inc.

Overige ondersteuning: Scioderm Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Epidermolysis bullosa (EB) simplex, Non-Herlitz junctionele EB, Open Label Extensie, Recessieve dystrofische EB

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire doelstelling is het aantonen van de veiligheid op lange termijn van ZORBLISA bij patiënten met EB-simplex, recessieve dystrofische EB en junctionele non-Herlitz-EB.

Secundaire uitkomstmaten

De secundaire doelstellingen zijn het beoordelen van de werkzaamheid van ZORBLISA wat betreft de verandering in lichaamsoppervlak (BSA) van letselhuid en wondlast, en ook het sluiten van niet genezen behandelde wonden uit de studie SD-005.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Epidermolysis bullosa (EB) is een zeldzame groep van erfelijke aandoeningen die doorgaans zich bij de geboorte manifesteren in de vorm van blaarvorming en laesievorming op de huid en in sommige gevallen het epitheel van andere organen. Als gevolg daarvan is de huid zeer kwetsbaar wat kan leiden tot afschuiving van de huid, wat de infectie risico kan verhogen. Alle vormen van EB zijn zowel slopend als levensbedreigend. Er zijn geen standaard behandelingen beschikbaar voor de symptomen van EB behandeling en er zijn ook geen goedgekeurde geneesmiddelen beschikbaar voor EB in Europa of Verenigde Staten. Er zijn tal van studies verschenen over mogelijke behandelingen voor de huid manifestaties geassocieerd met EB geweest. Echter geen van deze gecontroleerde studies toonden klinisch voordeel aan. Nieuwe verkennende behandelingen, waaronder huidtransplantaties, bioengineerd huid producten en gentherapie zijn

ook niet succesvol tot nu toe. In een open label studie patiënten behandeld met SD-101 crème toonden significante verbeteringen in de volledige genezing van de laesies, klinisch relevante vermindering van de omvang van het totale huidoppervlak betrokkenheid met een actieve ziekte, minder pijn en jeuk. Het doel is het beoordelen van de veiligheid op lange termijn van het topische gebruik van ZORBLISA bij patiënten met epidermolysis bullosa (EB).

Doel van het onderzoek

Het doel is het beoordelen van de veiligheid op lange termijn van het topische gebruik van ZORBLISA bij patiënten met epidermolysis bullosa (EB).

Onderzoeksopzet

Dit is een multicentrische vervolgstudie met open label ter beoordeling van de veiligheid op lange termijn van topisch aangebrachte ZORBLISA bij patiënten met EB-simplex, recessieve dystrofische EB en junctionele non-Herlitz-EB.

Onderzoeksproduct en/of interventie

ZORBLISA zal topisch worden aangebracht, eenmaal daags, op het volledige lichaam en dat gedurende een periode van 630 dagen.

Inschatting van belasting en risico

In een eerdere studie met SD-101 zijn sommige gevallen van milde roodheid van de huid gemeld na toepassing van SD-101 crème. Verder zullen patiënten worden gevraagd om pijn en jeuk vragenlijsten (schalen) in te vullen, en dagboeken bijhouden. Alle patiënten zullen moeten studie crème SD-101 eenmaal daags gebruiken gedurende 630 dagen en het ziekenhuis / kliniek vaker bezoeken

Contactpersonen

Publiek

Scioderm Inc.

Slater Road, Suite 170 1007
Durham NC 27703
US

Wetenschappelijk

Scioderm Inc.

Slater Road, Suite 170 1007
Durham NC 27703
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Formulier van geïnformeerde toestemming ondertekend door de proefpersoon of de wettelijke vertegenwoordiger van de proefpersoon; als de proefpersoon jonger is dan 18, maar in staat is om instemming te geven, dan dient de proefpersoon ondertekende instemming te geven.
2. De proefpersoon (of de verzorger ervan) moet bereid zijn om te voldoen aan alle protocolvereisten.
3. Patiënten die de studie SD-005 voltooiden (d.w.z. die het onderzoeksgeneesmiddel gebruiken bij bezoek 5).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Patiënten die niet voldoen aan de hierboven beschreven inclusiecriteria.
2. Zwangerschap of borstvoeding geven tijdens de studie. (Er zal een

urinezwangerschapstest worden uitgevoerd tijdens het laatste bezoek van de studie SD-005 bij vrouwelijke patiënten die kinderen kunnen krijgen.)

3. Vrouwen die kinderen kunnen krijgen die zich niet onthouden of die geen medisch aanvaardbare anticonceptiemethode toepassen.

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:	14-10-2015
Aantal proefpersonen:	14
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Zorblisa
Generieke naam:	ALLANTOIN

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-03-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-09-2015

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-04-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-06-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-05-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-05-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-07-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	26-07-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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	EUCTR2014-005679-96-NL
CCMO	NL52446.042.15