

Een open-label evaluatie in meerdere centra van de veiligheid en doeltreffendheid op lange termijn van recombinante, menselijke coagulatiefactor VIII fusieproteïne (rFVIII-Fc) voor de preventie en behandeling van bloedingsepisodes bij eerder behandelde patiënten met hemofilie A.

Gepubliceerd: 10-04-2013 Laatste bijgewerkt: 25-04-2024

Een open-label evaluatie in meerdere centra van de veiligheid en doeltreffendheid op lange termijn van recombinante, menselijke coagulatiefactor VIII fusieproteïne (rFVIII-Fc) voor de preventie en behandeling van bloedingsepisodes bij eerder...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON44048

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ASPIRE 8HA01EXT

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

Bloedstollingsstoornis, gebrek aan stollingsfactor VIII

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Biogen

Overige ondersteuning: Pharmaceutical Industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bloedingsepisodes, extensie, hemofilie A, rFVIII Fc

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Zich voordoen van de remmerontwikkeling

Secundaire uitkomstmaten

- * Het aantal jaarlijkse bloedingsepisodes (spontaan en traumatisch) per proefpersoon
- * Het aantal jaarlijkse spontane bloedingsepisodes in de gewrichten per proefpersoon
- * Het totaal aantal behandelingsdagen per jaar per proefpersoon
- * De verbruik van met rFVIII Fc als totale dosis per kg per proefpersoon per jaar
- * De algemene beoordeling door de arts van de proefpersoons respons op zijn behandeling met gebruik van een 4-puntenschaal
- * De algemene beoordeling door de proefpersoon van de respons op de bloedingsepisodes met gebruik van een 4-puntenschaal

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De evaluatie van de veiligheid op lange termijn van rFVIII-Fc voor preventie en behandeling op verzoek van bloedingsepisodes bij patiënten met hemofilie A, en om patiënten in het A-LONG-hoofdonderzoek (997HA301), de pediatrische studie (8HA02PED), of een ander fase 3 rFVIII-Fc-onderzoek de gelegenheid te geven om de behandeling met rFVIII-Fc voort te zetten.

Duur van het onderzoek is ongeveer 4 jaar of totdat goedkeuring voor het in de handel brengen in de deelnemende landen is verkregen.

De proefpersonen zullen een profylaxe op maat of een gepersonaliseerde profylaxe volgen gekozen door de onderzoeksarts. Wanneer het kind 12 jaar of ouder wordt kan hij ook voor andere opties kiezen zoals een wekelijks gewijzigde profylaxe of "on-demand" (op aanvraag) regime, zoals bepaald door de onderzoeker, gebaseerd op het klinische profiel van de proefpersoon en de dalpunten en piekwaarden (herstelwaarden), voor zover nodig, die tijdens het voorgaande onderzoek werden waargenomen. De proefpersonen mogen tijdens het onderzoek, naar het oordeel van de onderzoeker (samen met de ouder/voogd in het geval van kinderen en adolescenten), de behandeling wijzigen (bv. van profylaxe, met inbegrip van gewijzigde profylaxe naar "op aanvraag", of van "op aanvraag" naar profylaxe). Bij kinderen mogen wijzigingen in de behandeling alleen door hun ouders/voogden worden verzocht.

Doel van het onderzoek

Een open-label evaluatie in meerdere centra van de veiligheid en doeltreffendheid op lange termijn van recombinante, menselijke coagulatiefactor VIII fusieproteïne (rFVIII-Fc) voor de preventie en behandeling van bloedingsepisodes bij eerder behandelde patiënten met hemofilie A. Het primaire doel van het onderzoek is de evaluatie van de veiligheid op lange termijn van rFVIII-Fc bij patiënten met hemofilie A.

Onderzoekopzet

Dit is een open-label evaluatie op lange termijn, in meerdere centra, van de intraveneuze (IV) toediening van rFVIII-Fc bij eerder behandelde patiënten met hemofilie A, die het A-LONG-onderzoek (997HA301), het pediatrische onderzoek (8HA02PED), of een andere fase 3-onderzoek met rFVIII-Fc hebben voltooid. De behandeling wordt toegediend alsof profylaxe op maat of een gepersonaliseerde profylaxe, als wekelijks gewijzigde profylaxe of "op aanvraag".

Onderzoeksproduct en/of interventie

Studie medicatie: recombinant menselijke coagulatiefactor VIII fusieproteïne (rFVIII-Fc) per intraveneuze toediening.

Inschatting van belasting en risico

Voordelen: Een mogelijk voordeel kan de verminderde behoefte aan frequente injecties zijn om zijn hemofilie onder controle te houden. Wat wij van dit onderzoek leren, kan leiden tot een verbeterd inzicht in de werking van het onderzoeksgeneesmiddel als het voor meerdere jaren door mensen met hemofilie A wordt gebruikt.

Risico's: De onderzoeken die tijdens het onderzoek plaatsvinden, kunnen ongemak veroorzaken. Bloedafname uit een ader kan leiden tot blauwe plekken, plaatselijk bloeden, infectie, flauwte en een beetje pijn van de prik.

Bijwerkingen waarvan men weet dat ze bij andere Factor VIII-producten voorkomen, kunnen zich ook voordoen bij het onderzoeksgeneesmiddel. Bijwerkingen die zijn voorgekomen bij andere FVIII-producten omvatten symptomen van jeuk, huiduitslag, plaatselijke reacties op de plaats van inspuiting (zoals een brandend gevoel en tijdelijke roodheid), een vreemde smaak in de mond, koorts, hoofdpijn, ongemak of zwelling rondom de ader waaruit het bloed is afgenomen, een bloeding/blauwe plek op de plaats van inspuiting en vorming van Factor VIII-remmer.

Contactpersonen

Publiek

Biogen

Innovation House, Norden Road 70
Maidenhead, Berkshire SL6 4AY
GB

Wetenschappelijk

Biogen

Innovation House, Norden Road 70
Maidenhead, Berkshire SL6 4AY
GB

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Mogelijkheid om het doel en de risico's van het onderzoek te begrijpen en het geven van een ondertekend en gedateerd informed consent en het geven van een machtiging voor het gebruik van beschermde gezondheidsinformatie in overeenstemming met de nationale en lokale persoons privacyreglement. Ouder of voogd toestemming is vereist voor patienten die jonger zijn dan 18 jaar of niet in staat om toestemming te geven, of indien van toepassing volgens lokale wetgeving. Patienten die jonger zijn dan 18 jaar geven instemming naast het consent van de ouders / voogd, indien van toepassing.;2. Patienten die het 997HA301 onderzoek, 8HA02PED onderzoek of een andere fase 3-onderzoek met rFVIIIFc hebben voltooid.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Bevestigde positive hoge-titer remmer (*5,00 BU/ml).
2. Huidige recrutering in andere studies.
3. Onvermogen om te voldoen aan de studie-eisen.
4. Andere niet gespecificeerde redenen die, naar de mening van de onderzoeker of Biogen Idec, de patient ongeschikt maken voor deelname.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Preventie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	07-10-2013
Aantal proefpersonen:	6
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	ELOCTA
Generieke naam:	EFMOROCTOCOG ALFA
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-04-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-07-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-09-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	31-10-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-02-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-03-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-02-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-03-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-08-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-08-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-05-2016
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	EUCTR2011-003072-37-NL
CCMO	NL43600.042.13
Ander register	NTC01454739