

Een pilot studie op weg naar een behandeling met liposomaal prednisolon voor Graves' Orbitopathie met gereduceerde systemische steroid-blootstelling.

Gepubliceerd: 10-04-2017 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Aan te tonen dat Nanocort veilig is en effectief bij het verminderen van inflammatoire tekenen en symptomen van actieve GO.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON45340

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

GO Nanocort

Aandoening

- Oogaandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

Graves' orbitopathie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Oogziekenhuis Rotterdam

Overige ondersteuning: Enceladus Pharmaceuticals, Rotterdamse Stichting Blindenbelangen

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Graves' orbitopathie, Liposomale steroïden, Verminderde systemische steroïden blootstelling

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Aantal patiënten met een vooraf gedefiniëerde respons op behandeling.

Secundaire uitkomstmaten

Zie protocol.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De huidige behandeling van patiënten met matige tot ernstige Graves' Orbitopathie (GO) is hoofdzakelijk gebaseerd op verschillende doseringsschema's van intraveneuze (IV) methylprednisolon of hoge doses orale prednison. Ter voorkoming van de veelvuldige en potentieel ernstige bijwerkingen (SAEs) van een dergelijke behandeling zijn nieuwe immuunmodulerende therapieën noodzakelijk. In een kleine studie is aangetoond dat IV toediening van 'long-circulating liposomal prednisolone' (Nanocort, LCLP) effectief is bij rheumatoïde arthritis zonder de typerende glucocorticoiden-gerelateerde bijwerkingen (AEs) te veroorzaken. De hypothese is dat GO effectief kan worden behandeld met LCLP en dat het aantal AEs wordt gereduceerd.

Doel van het onderzoek

Aan te tonen dat Nanocort veilig is en effectief bij het verminderen van inflammatoire tekenen en symptomen van actieve GO.

Onderzoeksopzet

'Open-label, multicentre, dose-escalating' studie (fase I/II).

Onderzoeksproduct en/of interventie

De eerste 10 deelnemers worden behandeld met 150 mg/infusie Nanocort IV toegediend in de weken 0 en 2. Infusie duurt circa 2,5 uur. Wanneer drie of meer van deze patiënten reageren op behandeling, zal een tweede cohort van 10 deelnemers worden behandeld met 150 mg/infusie Nanocort IV toegediend in de weken 0 en 2. en (indien van toepassing) week 4).

Inschatting van belasting en risico

De incidentie van infusiereacties op liposomen (lege placebo zowel als medicatie bevattend) wijkt niet af van die bij andere colloïdale formuleringen en biologics: 5-10%. Bijwerkingen die (mogelijk) geassocieerd zijn met Nanocort lijken hanteerbaar.

In vergelijking met conventionele therapie is de belasting ten gevolge van deze studie (d.w.z. behandel- en controlebezoeken tezamen) lager (12 ziekenhuisvisities versus 8) en de dosering steroïden verlaagd (totaal 4500/7500 mg methylprednisolon versus 300/450 mg Nanocort). Naar verwachting zal de incidentie van AEs geassocieerd met hoge systemische steroïd doses lager zijn.

Contactpersonen

Publiek

Oogziekenhuis Rotterdam

Schiedamse Vest 180
Rotterdam 3011 BH
NL

Wetenschappelijk

Oogziekenhuis Rotterdam

Schiedamse Vest 180
Rotterdam 3011 BH
NL

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)

1. Man of vrouw * 18 jaar.
2. Toestemming.
3. Patienten zijn in staat en bereid de studie (12 maanden) te voltooien.
4. Actieve GO, CAS * 3.
5. Matige tot ernstige GO.
6. Euthyroidie gedurende minimaal 3 maanden met antithyroid medicatie of volgend op thyroïdectomie, of 6 maanden na jodium-bestraling.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Zichtbedreigende GO ten gevolge van optische neuropathie of ernstige keratopathie.
2. Ziekte, handicap of klinisch significante afwijking waardoor patient niet in staat is aan alle studiehandelingen mee te werken, of waardoor de interpretatie van werkzaamheid of veiligheid kan worden beïnvloed.
3. Deelname aan andere interventiestudie.
4. Gebruik van steroiden in voorafgaande 6 weken (m.u.v. topicale steroiden).
5. Verminderde kans op medewerking (medische redenen, niet opvolgen medicatievoorschrift).
6. Vrouwen, die zwanger zijn of dat wensen te worden tijdens de studie, of die borstvoeding geven.
7. Niet bereid contraceptie te gebruiken tot 3 maanden na laatste toediening.
8. Ongecontroleerde DM.
9. Voorgeschiedenis psychiatrie.
10. Voorgeschiedenis actieve hepatitis of HIV.
11. Afwijkende leverfunctie.
12. Afwijkende nierfunctie.
13. Teken van actieve infectie die systemische behandeling vereist.
14. Ingrijpende chirurgie in voorafgaande 60 of gepland gedurende studie.

15. Maligne aandoening, tenzij genezen.
16. Klinische significante afwijkingen hematologie.
17. Slechte veneuze toegang.
18. Huidig drug of alcohol misbruik.
19. Contraindicatie MRI.

Onderzoeksopzet

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:	28-11-2017
Aantal proefpersonen:	20
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Nanocort
Generieke naam:	LCLP

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-04-2017
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-07-2017
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-01-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-03-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-04-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-10-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

ID: 24926

Bron: NTR

Titel:

In overige registers

Register	ID
EudraCT	EUCTR2017-001158-33-NL
CCMO	NL61298.078.17
OMON	NL-OMON24926