

Een open-label, gerandomiseerd, single centrum, adaptief, parallelle groep-studie om de farmacokinetische eigenschappen van een enkele orale dosis olesoxime te bepalen, geformuleerd als een orale suspensie en als een orale oplossing in gevoede omstandigheden

Gepubliceerd: 29-09-2016 Laatste bijgewerkt: 15-04-2024

Het onderzoek zal worden uitgevoerd in 2 delen, Deel 1 en Deel 2. Het doel van het onderzoek is te onderzoeken in hoeverre RO7090919 in het lichaam wordt opgenomen en uitgescheiden. Tevens wordt gekeken in hoeverre RO7090919 wordt verdragen. Het...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON45676

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Olesoxime BA studie

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Neurodegeneratieve spierziekte, Spinale musculaire atrofie

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Hoffmann-La Roche
Overige ondersteuning: Farmaceutische industrie

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: olesoxime, spinale musculaire atrofie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De farmacokinetische eigenschappen van 10mg/kg olesoxime als orale suspensie en 20mg/kg olesoxime als orale oplossing

Secundaire uitkomstmaten

De veiligheid en verdraagbaarheid van van 10mg/kg olesoxime als orale suspensie en 20mg/kg olesoxime als orale oplossing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

RO7090919 is een nieuw onderzoeksmiddel dat mogelijk gebruikt kan worden bij de behandeling van Spinale Musculaire Atrofie (SMA), een erfelijke progressieve spierziekte.

De ziekte wordt veroorzaakt door een fout in het zogenaamde SMN1-gen. Deze fout in het erfelijk materiaal kan leiden tot het niet goed functioneren van de motorische zenuwcellen, die nodig zijn voor het aansturen van de spieren. Hierdoor kunnen de spieren uiteindelijk dunner worden en verlamd raken. RO7090919 is in staat om de motorische zenuwcellen te beschermen zodat ze niet doodgaan en goed kunnen blijven functioneren.

RO7090919 bevindt zich in de ontwikkelingsfase en is niet geregistreerd als

geneesmiddel, maar is al eerder aan mensen toegediend.

Doel van het onderzoek

Het onderzoek zal worden uitgevoerd in 2 delen, Deel 1 en Deel 2. Het doel van het onderzoek is te onderzoeken in hoeverre RO7090919 in het lichaam wordt opgenomen en uitgescheiden. Tevens wordt gekeken in hoeverre RO7090919 wordt verdragen.

Het onderzoek zal worden uitgevoerd in maximaal 90 gezonde mannelijke en vrouwelijke vrijwilligers, verdeeld over 2 delen.

Deel 1 zal worden uitgevoerd in 30 gezonde mannelijke en vrouwelijke vrijwilligers, verdeeld over 2 groepen. Beide groepen bestaan uit 15 personen. Deel 2 zal worden uitgevoerd in maximaal 60 gezonde mannelijke en vrouwelijke vrijwilligers.

Onderzoeksopzet

Het onderzoek, uitgevoerd in het klinisch onderzoekscentrum in Groningen, bestaat uit een behandelperiode waarbij de vrijwilliger willekeurig wordt ingedeeld in een van de twee groepen, van elk 15 vrijwilligers. Groep 1 krijgt olesoxime toegediend als orale suspensie (10mg/kg), terwijl groep 2 olesoxime krijgt toegediend als orale oplossing (20mg/kg), in gevoede status. Vrijwilligers worden eenmaal gedoseerd en blijven tot 48 uur na de dosering in de kliniek. Ambulante vervolgvisites aan de kliniek staan gepland op dag 5, 8, 12, 16 en 21. Gebaseerd op de farmacokinetische resultaten verkregen uit dit deel van de studie, wordt besloten of deel 2 van de studie wordt uitgevoerd. Dit optionele Deel 2 bestaat uit 15 vrijwilligers die een dosis olesoxime krijgen die kleiner of gelijk is aan 20mg/kg. Het schema is verder gelijk aan Deel 1 van de studie.

Voor groep 2 bestaat het onderzoek uit 1 periode waarin men éénmalig Olesoxime toegediend krijgt, ofwel in 1 keer, ofwel verdeeld over 2 of 3 toedieningen in een periode van 24 uur. Olesoxime wordt gegeven als een drankje. Er zijn 2 verschillende versies van dit drankje, 1 met sesamolie en 1 zonder. Welke versie van het drankje men krijgt, en of men het in 1 keer krijgt, of verdeeld over 2 of 3 toedieningen wordt door het lot bepaald.

De vrijwilliger zal een volume van tussen de 4 en 40 milliliter moeten opdrinken, ongeacht welke versie van het drankje men krijgt, of hoe het toegediend wordt. Deel 2 van het onderzoek zal uitgevoerd worden in groepen van ten minste 8 vrijwilligers. Men kan maar aan 1 van deze groepen deelnemen. De eerste 2 kliniekgroepen in Deel 2 (Groep 4 en Groep 5 van dit onderzoek) krijgen de versie van het drankje zonder sesamolie. De helft van de vrijwilligers krijgt het drankje in 1 keer toegediend, en de helft van de vrijwilligers krijgt het drankje

verdeeld over 2 toedieningen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Fase 1: 10mg/kg olesoxime als orale suspensie of 20mg/kg olesoxime als orale oplossing (random toegewezen)

Inschatting van belasting en risico

RO7090919 is onderzocht in 17 afgeronde studies met in totaal 1468 gezonde vrijwilligers of patiënten (volwassenen en kinderen). Van deze vrijwilligers of patiënten hebben 849 dagelijkse doseringen toegediend gekregen met doses tussen 50 mg en 1000 mg voor gedurende maximaal 33 maanden. In alle studies is aangetoond dat RO7090919 goed werd verdragen. Er werden geen gezondheidsrisico's gevonden op basis van de huidige beschikbare onderzoeksgegevens.

Bij de in dit onderzoek te gebruiken doseringen worden geen ernstige bijwerkingen verwacht.

Contactpersonen

Publiek

Hoffmann-La Roche

Grenzacherstrasse 124
Basel 4070
CH

Wetenschappelijk

Hoffmann-La Roche

Grenzacherstrasse 124
Basel 4070
CH

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. Gezonde mannelijke en vrouwelijke deelnemers, 18 tot 64 jaar oud, inclusief. Gezondheidsstatus is gedefinieerd door afwezigheid van bewijs voor enige actieve of chronische ziekte na een gedetailleerd medische en chirurgische voorgeschiedenis, en een volledig fysiek onderzoek, inclusief vital signs, 12-lead ECG, hematologie, bloedchemie, serologie en urinalyse.;2. Voor vrouwen met kinddragend potentieel: overeenkomst voor onthouding of overeenkomst om een acceptabele vorm van anticonceptie te gebruiken gedurende de behandelperiode en voor minimaal 90 dagen na de laatste dosering olesoxime.;3. Een body mass index (BMI) tussen de 18,0 en 30,0 kg/m², inclusief, met een gewicht <100kg op dag -1.;4. In staat om mee te doen en bereidwillig om informed consent af te geven, en om zich aan de studierestricties te houden.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Zwanger (of van plan om zwanger te worden gedurende de studie) of borstvoedinggevende vrouwen, of een positieve urine-zwangerschapstest tijdens de screening of dag -1 (een positieve urine-zwangerschapstest dient gevolgd te worden door een positieve serumtest)

2. Historie van enige klinisch significante gastrointestinale, renale, hepatische, broncho-pulmonaire, neurologische, psychiatrische, cardiovasculaire, endocrinologische, hematologische of allergische ziektes (meervoudige allergieën, seizoensgebonden allergie is acceptabel), metabole ziektes, kanker of cirrhose.

3. Enige klinisch significante ernstige ziekte binnen een maand voor de screening, of enige vorm van koorts binnen een week van screening, en tot aan de eerste dosering.

4. Klinisch significante afwijkingen in laboratorium-testresultaten (inclusief hepatische en renale panels, volledige bloedtelling, klinisch panel en urinalyse) bij screening. In het geval van onzekere of twijfelachtige resultaten, kunnen tests uitgevoerd tijdens screening herhaald worden voor randomisatie om geschiktheid te bevestigen.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	18-10-2016
Aantal proefpersonen:	90
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Olesoxime
Generieke naam:	n.v.t.

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-09-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-10-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	26-04-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-05-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

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	EUCTR2016-002661-60-NL
CCMO	NL59229.056.16