

Interventioneel, open-label, één groep, meermaals-gedoseerde studie die de farmacokinetische eigenschappen van arimoclomol (BRX-345) en de metabolieten onderzoekt middels orale toediening bij gezonde jonge mannen

Gepubliceerd: 05-09-2018 Laatste bijgewerkt: 10-01-2025

Primaire doelen: Om de farmacokinetiek van meerdere doses arimoclomol te onderzoeken in plasma en urine. Om de metabolieten van arimoclomol te onderzoeken en kwantificeren in plasma en urine. Secundaire doelen: Om de veiligheid en verdraagbaarheid van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Overige aandoening
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON45787

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CS0305 (OR-ARI-MET-01)

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

ALS, Gaucher's disease

Aandoening

diseases regarding conditions that involve misfolded proteins or protein aggregation

disorders

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Orphazyme A/S
Overige ondersteuning: Orphazyme A/S

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Arimoclomol, BRX-345, Farmacokinetiek

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Farmacokinetische parameters van arimoclomol, betreffende C_{max}, t_{max}, AUC_{0-t}, AUC₀₋₈, AUC_{0-inf}, CL/F, V_z/F, en t^{*}, C_{avg}, AR, Ae, fe en CLR na het innemen van meerdere doses medicatie in jonge gezonde mannelijke proefpersonen.

Secundaire uitkomstmaten

Veiligheid parameters betreffen: adverse events (AEs), klinische laboratorium beoordelingen, vitale functies, gewicht, ECG, fysieke en neurologische onderzoeken en C-SSRS scores na het innemen van meerdere doses medicatie in jonge gezonde mannelijke proefpersonen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De "heat shock response" is een natuurlijk afweermecanisme van alle cellen. Het beschermt de cellen van accumulatie van verkeerd gevouwen eiwitten en andere afvalproducten, die anders tot toxiciteit en ziekte zouden leiden. Arimoclomol is een oraal verkrijgbaar klein molecuul, dat gemakkelijk de bloed-hersen barriere oversteekt en een verhoogde productie van HSP, in het bijzonder HSP70, in gestresste cellen stimuleert. Arimoclomol kan daarom worden

gebruikt om condities met betrekking tot verkeerd gevouwen eiwitten te behandelen, waaronder lysosomale stapelingsziektes (LSD) (bijvoorbeeld: Niemann Pick disease, type C (NPC) en Gaucher's disease (GD)) en eiwit aggregatie ziektes (bijvoorbeeld: amyotrofische laterale sclerosis (ALS) en sporadische inclusion body myositis (sIBM)).

Doel van het onderzoek

Primaire doelen:

Om de farmacokinetiek van meerdere doses arimoclomol te onderzoeken in plasma en urine.

Om de metabolieten van arimoclomol te onderzoeken en kwantificeren in plasma en urine.

Secundaire doelen:

Om de veiligheid en verdraagbaarheid van meerdere doses arimoclomol te evalueren.

Onderzoeksopzet

Deze studie is een interventioneel, open-label, fase meerdere doses studie in gezonde jonge mannen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle proefpersonen krijgen een meerdere doses van 400 mg arimoclomol, drie keer per dag voor 5 achtereenvolgende dagen en een eenmalige dosis in de ochtend van dag 6.

Inschatting van belasting en risico

De studie wordt uitgevoerd in gezonde vrijwilligers. Er zijn daarom geen verwachte voordelen aan het IMP. Een referentie naar het IMPD wordt gemaakt voor verdere informatie.

Contactpersonen

Publiek

Orphazyme A/S

Ole Maaloes Vej 3
Copenhagen DK-2200 N
DK

Wetenschappelijk

Orphazyme A/S

Ole Maaloes Vej 3
Copenhagen DK-2200 N
DK

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)

proefpersoon is een man
proefpersoon is ten minste 18 jaar en maximaal 45 jaar oud
Voor meer inclusie-criteria, zie protocol

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

De proefpersoon heeft een geschiedenis met allergie of hypersensitiviteit voor een medicijn.
De proefpersoon heeft in de afgelopen drie maanden (vóór de eerste dosering van het IMP)
niet deelgenomen aan geneesmiddelenonderzoek. ;Voor meer exclusie-criteria, zie protocol

Onderzoekopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Beëindigd

(Verwachte) startdatum: 18-09-2018

Aantal proefpersonen: 6

Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel

Merknaam: Arimoclomol

Generieke naam: n.a.

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-09-2018

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 18-09-2018

Soort: Eerste indiening

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	EUCTR2018-002517-34-NL
CCMO	NL66925.056.18

Resultaten

Einddatum onderzoek: 06-11-2018

Datum resultaten gemeld: 12-11-2020

Datum eerste publicatie onderzoek

28-05-2020