

EEN OPEN-LABEL, NIET-GECONTROLEERDE, MULTICENTER KLINISCH ONDERZOEK VAN GEÏNHALEERDE MOLGRAMOSTIM IN AUTO-IMMUNE PULMONAIRE ALVEOLAIRE PROTEINOSIS PATIËNTEN

Gepubliceerd: 18-12-2017 Laatst bijgewerkt: 04-01-2025

Het voornaamste doel van deze studie is de veiligheid van het lange termijn gebruik van geïnhaleerde molgramostim te onderzoeken door het verzamelen van informatie over de bijwerkingen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Auto-immuunziekten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON46569

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

IMPALA-EX

Aandoening

- Auto-immuunziekten
- Luchtwegaandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

autoimmuun PAP; Pulmonale alveolaire proteïnose

Betreft onderzoek met

1 - EEN OPEN-LABEL, NIET-GECONTROLEERDE, MULTICENTER KLINISCH ONDERZOEK VAN GEÏNHAL ...
1-05-2025

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Savara ApS

Overige ondersteuning: Savara ApS

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: autoimmuun, inhalatie, molgramostim, proteinosis

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Aantal Adverse Events, Serious Adverse Events, Adverse Drug Reactions en AEs welke leiden tot discontinueren van de behandeling.

Secundaire uitkomstmaten

Het onderzoeken van de lange termijn effecten bij het gebruik van molgramostim inhalatie op de oxygenatie, uithoudingsvermogen, respiratoire kwaliteit van leven, noodzaak voor gehele long lavage en longfunctie.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Savara ApS heeft een oplossing ontwikkeld voor het inhaleren van het bestaande molgramostim product voor de behandeling van aPAP. Molgramostim bevat de werkzame stof recombinant menselijk Granulocyt-Macrofaag Kolonie-Stimulerende Factor (GM-CSF).

GM-CSF is een eiwit dat van nature aanwezig is in het menselijk lichaam als onderdeel van het immuunsysteem. Patiënten met aPAP hebben verhoogde niveaus van antilichamen naar het specifieke eiwit. Deze antilichamen binden aan de GM-CSF van de patiënt en blokkeren haar functie. Als gevolg daarvan, bouwt een eiwitrijk materiaal zich in de zakken van de lucht van de longen op, waardoor het bemoeilijk wordt om zuurstof naar het bloed te transporteren. Er wordt gesuggereerd dat waarschijnlijk het inhaleren van molgramostim het immuunsysteem in de longen inschakelt om dit materiaal te wissen om toe te staan dat zuurstof in het bloed komt.

Doel van het onderzoek

Het voornaamste doel van deze studie is de veiligheid van het lange termijn gebruik van geïnhalede molgramostim te onderzoeken door het verzamelen van informatie over de bijwerkingen.

Onderzoeksopzet

Dit is een open-label studie waarbij de patiënten behandeld worden met het onderzoeksmiddel voor een periode van maximaal 3 jaar. Tijdens de eerste visite, patiënten mogen de behandeling continueren of herstarten met molgramostim inhalatie (300 ug) intermitterend toegediend in cycli van zeven dagen molgramostim eenmaal per dag, gevolgd door zeven dagen geen behandeling. Trial visites zullen plaatsvinden op een 6 maandelijkse interval tot aan het einde van de studie. De patiënten worden gevraagd om tussen de bezoeken AEs te rapporteren in het patiënten dagboek. Het dagboek moet bij elk bezoek worden ingeleverd. Participerende patiënten zullen aangemoedigd worden om het ziekenhuis tussen visites door te benaderen als zij adverse events of verslechtering van de aPAP ondervinden, of als ze andere bedenkingen hebben.

Onderzoeksproduct en/of interventie

NA

Inschatting van belasting en risico

Zie sector E9.

Contactpersonen

Publiek

Savara ApS

Slotsmarken 17, 1.th
Hørsholm 2970
DK

Wetenschappelijk

Savara ApS

Slotsmarken 17, 1.th

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)

Personen die de IMPALA trial hebben voltooid

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Behandeling met granulocyte Macrophage Colony Stimulating Factor (GM-CSF)producten andere dan molgramostim nebuliser oplossing binnen drie maanden voor baseline.
2. Behandeling met een geneesmiddel anders dan geïnhaleerde molgramostim 4 weken voor baseline.
3. Geschiedenis van allergische reactie of de GM-CSF

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek: 3
Type: Interventie onderzoek
Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	18-05-2018
Aantal proefpersonen:	4
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Molgradex
Generieke naam:	molgramostim

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-12-2017
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-05-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-02-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United

	(Nieuwegein)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-06-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-06-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

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	EUCTR2017-004078-32-NL
CCMO	NL63664.100.17

Resultaten

Einddatum onderzoek:	08-01-2021
Datum resultaten gemeld:	17-01-2022

Datum eerste publicatie onderzoek

10-11-2021