

Effecten en gezondheidseconomische aspecten van enzymtherapie bij kinderen en volwassenen met de ziekte van Pompe. Lange-termijn follow-up van patienten die commercieel beschikbaar Myozyme krijgen toegediend.

Gepubliceerd: 10-04-2007 Laatste bijgewerkt: 10-01-2025

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-518269-92-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Het doel van deze studie is meer inzicht te verkrijgen in de effecten van enzymtherapie bij patienten met de ziekte van Pompe op...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON47930

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Effect en economische aspecten van enzymtherapie bij de ziekte van Pompe

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
- Aangeboren metabolismestoornissen
- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

glycogeenstapelingsziekte type II, zure maltase deficiëntie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: CVZ (via ZonMW); TI Pharma (deelonderzoek neonatale screening)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Enzymtherapie (Myozyme), Gezondheids-economische aspecten, Lange-termijn follow-up, Ziekte van Pompe

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Overleving
- Spierkracht en spierfunctie
- Motorische en mentale ontwikkeling
- Longfunctie
- Cardiale hypertrofie en cardiale functie
- Gehoorverlies
- Spiermassa en regeneratievermogen
- Economische aspecten
- Handicap, kwaliteit van leven meetschalen
- Enzymactiviteit in Bloodspots/Guthriekaarten
- Gezondheidsschade op moment van diagnose
- Attitude gezondheidsmedewerkers t.a.v. neonatale screening op de ziekte van Pompe
- Uithoudingsvermogen
- Stijfheid van de aorta, pulse wave velocity,

distensibiliteit, intima-media dikte

- Functie en sterkte van het diafragma
- Dikte van het diafragma
- Erfelijke factoren die invloed hebben op de ernst en op specifieke ziektekenmerken
- IQ
- Neuropsychologische functie testen
- MRI cerebrum
- MRI/echo spier
- EMG bevindingen
- Voórkomen van cardiovasculaire morbiditeit
- Risicofactoren voor hart- en vaatziekten

Secundaire uitkomstmaten

Rompstabiliteit

Longafwijkingen zoals atelectasis

Lichaamssamenstelling

Algemeen welbevinden

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Pompe (glycogeenstapelingsziekte type II) is een erfelijke lysosomale stapelingsziekte met een incidentie van 1:40.000 geboorten. De ziekte wordt veroorzaakt door een deficiëntie van alpha-glucosidase, een lysosomaal hydrolase betrokken bij de afbraak van glycogeen. Deze deficiëntie zorgt voor stapeling van glycogeen in vele weefsels, zoals hart, skeletspieren en lever. Patiënten met de klassieke infantiele vorm van deze ziekte hebben

ernstige cardiorespiratoire problemen en een ernstige motorische achterstand. Deze kinderen overlijden normaal gesproken binnen het eerste levensjaar. Bij de niet-klassieke vorm bestaat er een grote spreiding in de leeftijd waarop de eerste ziektesymptomen optreden en de ernst van de ziekte.

Tot voor kort bestond er geen effectieve behandeling voor de ziekte van Pompe. In 2006 is behandeling met Myozyme (alglucosidase alfa; enzymtherapie) goedgekeurd voor de lange-termijn behandeling van alle patienten met de ziekte van Pompe (zowel kinderen als volwassenen). Echter, tot nu toe zijn de gegevens die bekend zijn over het effect van enzymtherapie beperkt, met name bij de oudere kinderen en volwassenen. Het is noodzakelijk dat er onderzoek gedaan wordt naar de effecten van enzymtherapie op lange termijn.

De therapie voor de klassiek infantiele vorm van de ziekte van Pompe is het meest effectief als deze zo snel mogelijk na het stellen van de diagnose start. Op dit moment is de gemiddelde duur tot het stellen van de diagnose 5,3 maanden. Als de diagnose eerder gesteld wordt heeft dit een gunstig effect op spier-, hart- en longfunctie en uiteindelijk overleving. Een logische manier om deze diagnostische delay te ondervangen is het toevoegen van de ziekte van Pompe aan de landelijke hielprikscreening. Daarnaast kunnen de uitkomsten van deze groep patienten mogelijk verbeterd worden door een hogere dosering en/of het gebruik van immunomodulatie.

Een mogelijke manier om spierkracht en spierfunctie verder te verbeteren zou bewegingstraining kunnen zijn. Trainingsprogramma's hebben bewezen effect op de oxidatieve capaciteit en spierfunctie in andere myopathieën, maar doordat de bestaande studies bij patiënten met de ziekte van Pompe niet systematisch en/of in kleine groepen werden uitgevoerd, is bewegingstherapie nog niet opgenomen in het behandeltraject. Een recente inventarisatie bij 51 volwassenen met de ziekte van Pompe heeft uitgewezen dat er een grote behoefte is bij patiënten om een geprotocolleerd trainingsprogramma c.q. fysiotherapieprogramma te gebruiken naast enzymtherapie. Zoals eerder aangetoond blijkt bewegingstraining op korte termijn goed effect te hebben op uithoudingsvermogen, spierkracht- en functie en rompstabiliteit. Het is van belang om te weten of dit effect op langere termijn voortzet, dus of het fysiek functioneren en fitheid van patiënten op langere termijn beter is met de combinatie enzymtherapie en bewegingstraining dan met enzymtherapie alleen.

Patienten met de ziekte van Pompe hebben mogelijk een grotere stijfheid van de aorta als gevolg van glycogeenstapeling in de vaatwand. Omdat een grotere stijfheid van de aorta een risicofactor is voor het optreden van cardiovasculaire accidenten is het van belang om uit te zoeken of patienten met de ziekte van Pompe dit hebben.

Sinds start van enzymtherapie lijkt de spierkracht en de longfunctie in zittende houding te stabiliseren of enigzins te verbeteren, alleen de longfunctie in liggende houding gaat in 1/3 van de patienten ondanks

behandeling achteruit. De verminderde longfunctie in liggende houding komt waarschijnlijk door zwakte van het diafragma, maar het is onduidelijk waarom deze spier minder goed zou reageren op therapie. Om een beter inzicht te krijgen in de functie van het diafragma en eventuele effecten van behandeling met enzymtherapie te onderzoeken willen we het diafragma onderzoeken door middel van MRI in combinatie met spirometrie.

Bij patiënten met de niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe speelt spierzwakte een prominente rol. Er is echter een sterk variabel fenotype. In een groot aantal van de patiënten spelen minder bekende ziektekenmerken een rol, zoals scapula alata, ptosis of fascies myopatica. In FSHD zijn deze voor Pompe relatief onbekende ziektekenmerken juist karakteristiek. Bij onderzoek naar FSHD is er een genetische factor (SMCHD1) gevonden die mogelijk ook een rol kan spelen bij het tot uiting komen van ziektekenmerken (scapula alata, fascies myopathica) in andere spierziekten, waaronder de ziekte van Pompe.

Nu we patiënten langdurig behandelen zien we een nieuw fenotype ontstaan. Patiënten ontwikkelen soms distale zwakte en bij sommige klassiek infantiele patiënten stagneert de cognitieve ontwikkeling en ontstaan afwijkingen in de witte stof. Deze problemen zouden het gevolg kunnen zijn van betrokkenheid van de centrale en perifere zenuwstelsel.

Er is gebleken dat volwassenen met de ziekte van Pompe een grotere vaatstijfheid en vaker hoge bloeddruk hebben dan controles. Dit zijn onafhankelijke risicofactoren voor het krijgen van hart- en vaatziekten. Met het deelonderzoek naar cardiovasculaire morbiditeit willen we verder onderzoeken of hart- en vaatziekten of risicofactoren hiervoor meer voorkomen bij volwassenen met de ziekte van Pompe dan bij gezonde controles.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-518269-92-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Het doel van deze studie is meer inzicht te verkrijgen in de effecten van enzymtherapie bij patiënten met de ziekte van Pompe op de lange termijn, met een verschillende ernst van de ziekte. Ook dient het onderzoek ervoor om richtlijnen op te stellen voor het bepalen van start en stopcriteria voor enzymtherapie en om de gezondheidseconomische aspecten in kaart te brengen. Verder is het van belang de dosering te optimaliseren.

Verder onderzoeken we de mogelijkheid en wenselijkheid van het toevoegen van screening op de ziekte van Pompe aan de landelijke hielprikscreening.

Daarnaast worden de effectiviteit en veiligheid van een geprotocolleerd trainingsprogramma als aanvulling op enzymtherapie bestudeert. De bedoeling is uiteindelijk te komen tot een standaardrichtlijn ten aanzien van fysiotherapie en training voor patiënten met de ziekte van Pompe.

Het voorkomen van pijn bij volwassen patiënten met de ziekte van Pompe zal

worden bestudeerd.

Daarnaast zal er gekeken worden of patienten met de ziekte van Pompe een grotere stijfheid hebben van de aorta dmv echo-onderzoek van de hals- en liesslagader.

Een beter inzicht krijgen in de functie van het diafragma en evalueren van effecten van enzymtherapie op de liggende longfunctie door middel van MRI in combinatie met spirometrie.

Daarnaast zal er onderzocht worden of SMCHD1 een modifierende factor is bij het tot uiting komen van specifieke ziektekenmerken.

Tenslotte willen we door MRI's van de hersenen en neuropsychologisch onderzoek het voorkomen en de mate van CNS betrokkenheid in kaart brengen en door onderzoek van de spieren (EMG, MRI, echo en spierbiopsie) bestuderen wat de oorzaak van de distale spierzwakte is.

Het uitgebreider onderzoeken van het voorkomen van cardiovasculaire morbiditeit en/of risicofactoren hiervoor is van belang voor betere behandeling en/of preventie van hart- en vaatziekten bij volwassenen met de ziekte van Pompe.

Onderzoekopzet

Het is een therapeutische-interventie studie met een geregistreerd geneesmiddel. Hierbij volgen we de patienten gedurende tenminste 3 jaar door middel van gericht lichamelijk/neurologisch onderzoek, gecombineerd met aanvullend onderzoek naar de spierkracht en spierfunctie, longfunctie, functie van het hart en het gehoor.

Voor het deelonderzoek naar neonatale screening zal in bloodspots van patienten met de ziekte van Pompe, ouders van patienten en anonieme bloodspots van het RIVM enzymactiviteit gemeten worden met twee methoden: fluorimetrisch en tandem mass spectrometrie. Verder zal de gezondheidsschade op het moment van diagnose worden geëvalueerd aan de hand van statusonderzoek en de vragenlijsten die patienten invullen. Middels semi-gestructureerde interviews met gezondheidsmedewerkers zal de attitude ten opzichte van de neonatale screening op de ziekte van Pompe geëvalueerd worden.

Voor het deelonderzoek naar bewegingstraining zullen patiënten gerandomiseerd verdeeld worden in 2 groepen. Groep 1 zal direct starten met het trainingsprogramma en gedurende 3 maanden trainen. De laatste 3 maanden zal groep 1 niet trainen en kunnen de effecten van *de-training* in deze groep worden onderzocht. Groep 2 zal de eerste drie maanden niet trainen en dienen als controle groep voor groep 1 en de laatste drie maanden trainen. Door middel van onderzoeken naar spierkracht, spierfunctie en spiersamenstelling, naar lichaamssamenstelling, uithoudingsvermogen en algemeen welbevinden worden de effectiviteit en veiligheid onderzocht.

Het deelonderzoek naar pijn bij de ziekte van Pompe is een cross-sectioneel, observationeel onderzoek, waarbij patienten van 18 jaar of ouder eenmalig vragenlijsten over pijn invullen.

Het deelonderzoek naar de stijfheid van de aorta is case-control onderzoek dmv echo. Het echo-onderzoek is een non-invasieve meting van de zogenaamde pulse wave velocity en distensibiliteit van de a. carotis en a. femoralis. Dit is de

huidige gouden standaard om de stijfheid van de aorta te bepalen.

Het deelonderzoek naar de functie van het diafragma is een case-control onderzoek dmv MRI in combinatie met spirometrie. Dit onderzoek is non-invasief en er wordt gekeken naar de functie en de sterkte van het diafragma en eventuele longafwijkingen. Deze MRI zal herhaald worden na een jaar om het beloop in de tijd te beoordelen. Eveneens zal een non-invasieve echo worden gemaakt van het diafragma waarbij de dikte van het diafragma beoordeeld zal worden.

Het deelonderzoek naar erfelijke factoren die invloed hebben op de ernst en op specifieke ziektekenmerken is een cross-sectioneel onderzoek waarbij bij de patiënten eenmalig 3 buizen bloed wordt afgenomen. Deze bloedafname wordt gedaan voordat patiënten beginnen met hun enzymtherapie infusie, zodat zij niet een extra keer geprikt hoeven worden.

Het internationale onderzoek naar benadelregimes is een retrospectief status onderzoek waarin ook andere landen worden betrokken.

Het onderzoek naar distale spierzwakte en cognitie is een prospectief observationeel onderzoek waarin patiënten middels neuropsychologisch onderzoek, MRI's van de hersenen en zenuw en spier echografie worden vervolgd. Tevens zal eenmalig een spierbiopsie, EMG van de zenuw en de spier, SSEP, VEP, ERG en OCT en MRI van het myelum en onderste extremiteiten worden verricht. De MRI van de spieren en een eenmalige MRI van de hersenen zullen plaatsvinden in het LUMC.

Het deelonderzoek naar cardiovasculaire morbiditeit is een case-control onderzoek. Lengte, gewicht, buik- en heupomtrek worden gemeten en deelnemers worden gevraagd een vragenlijst in te vullen met betrekking tot risicofactoren voor hart- en vaatziekten. Er wordt een langdurige bloeddrukmeting, bloed- en urineonderzoek en een ECG verricht.

Het onderzoek naar lange termijn effecten van bewegingstraining is een cross-sectioneel onderzoek. Patiënten, die eerder mee hebben gedaan aan het gestandaardiseerde trainingsprogramma en op leeftijd, geslacht en ziekteprogressie ten tijde van start van het trainingsprogramma geselecteerde controles die het trainingsprogramma destijds niet hebben gevolgd, zullen meedoen. Metingen van de standaard poliklinische onderzoeken worden meegenomen, deze bestaan uit lichamelijk onderzoek, vitale functies, lengte, gewicht, standaard bloed en urineonderzoek, longfunctie, 6 minuten looptest, spierkracht manueel en middels HHD (hand held dynamometry) metingen, spierfunctie middels het GMFM (gross motor function measure) en tijdstesten. Een extra halve dag wordt gepland voor uithoudingsvermogen middels fietstesten, voor het invullen van vragenlijsten over het welbevinden en vermoeidheid en voor het bepalen van de botdichtheid en de lichaamssamenstelling middels een dexa-scan

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle patiënten die meedoen in deze studie zullen behandeld worden met Myozyme. Myozyme is een geregistreerd (wees)geneesmiddel voor behandeling van patiënten met de ziekte van Pompe. De patiënten zullen hiervoor 1 x per 2 weken een infuus krijgen met Myozyme. De behandeling vindt plaats in het Erasmus MC. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar bewegingstraining zullen gedurende 3 maanden een gestandaardiseerd

trainingsprotocol volgen. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek naar de stijfheid van de aorta zullen een non-invasieve meting krijgen dmv echo. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek naar de functie van het diafragma krijgen een MRI in combinatie met spirometrie en daarnaast een echo van het diafragma. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek naar erfelijke factoren die invloed hebben op de ernst en op specifieke ziektekenmerken zullen 3 buizen bloed afgeven voorafgaand aan hun infusie met enzymtherapie. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek naar distale spierzwakte en cognitie zullen bovengenoemde onderzoeken ondergaan. Bij patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar cardiovasculaire morbiditeit zullen bovengenoemde onderzoeken ondergaan. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar de lange termijn effecten van bewegingstraining zullen bovengenoemde deels standaard poliklinische onderzoeken ondergaan.

Inschatting van belasting en risico

De risico's van de proefpersoon bestaan in het feit dat er bloed geprikt moet worden tijdens de studie en dat bij een aantal patiënten een huidbiopt en een spierbiopt zal worden verricht. Voor het overige onderzoek zoals lichamelijk/neurologisch onderzoek en onderzoek naar longfunctie, cardiale functie en gehoor, en beeldvormend onderzoek bestaan er verwaarloosbare risico's. De patienten dienen 1 x per 2 weken naar het ziekenhuis te komen voor de behandeling. Alle extra onderzoeken zullen zoveel mogelijk op dezelfde dag als de infusie gepland worden, de patient hoeft hiervoor dus niet extra naar het ziekenhuis te komen.

Voor het deelonderzoek naar neonatale screening zullen ouders van patienten met de ziekte van Pompe eenmalig 7 ml bloed afstaan ter analyse.

Voor het deelonderzoek naar bewegingstraining zullen patiënten naar ziekenhuis te komen voor extra onderzoeken. Bewegingstraining kan mogelijk de schade aan de spieren kan vergroten. Uit eerdere onderzoeken blijkt dat dit voor patiënten met de ziekte van Pompe waarschijnlijk niet het geval is. Bovendien wordt dit nauwkeurig vervolgd door iedere twee weken voor aanvang van de enzymtherapie (zodat de patiënt niet extra geprikt hoeft te worden) 0.5ml bloed af te staan voor analyse.

Aan het deelonderzoek naar de stijfheid van de aorta zitten geen risico's. De meting zal plaatsvinden op een tijdstip dat de patienten en controles toch al in het Erasmus MC zouden moeten zijn.

Voor het deelonderzoek naar de functie van het diafragma hoeven patienten niet extra naar het ziekenhuis te komen want dit onderzoek zal op dezelfde dag gebeuren dat de patient komt voor een reguliere controle of infusie op de dagbehandeling Neurologie. Het onderzoek door middel van MRI in combinatie met spirometrie brengt geen grote risico's met zich mee. Patienten zouden kortademig kunnen worden door de inspanning. Het onderzoek door middel van echo van het diafragma brengt geen grote risico's met zich mee.

Voor het deelonderzoek naar erfelijke factoren die invloed hebben op de ernst en op specifieke ziektekenmerken hoeven patienten niet een extra keer naar het ziekenhuis te komen. Drie buizen bloed zullen worden afgenomen voor aanvang van infusie met enzymtherapie, opdat patienten niet een extra venapunctie behoeven.

Er zijn voor de patient geen extra risico's behoudens het al aanwezig risico van de venapunctie in het kader van infusie met enzymtherapie.

Alle patienten zullen een spierbiopsie en een EMG met naaldonderzoek krijgen.

Kinderen onder de 7 jaar zullen narcose krijgen ten einde deze onderzoeken en de MRI's mogelijk te maken.

Voor het deelonderzoek naar het voorkomen van cardiovasculaire morbiditeit hoeven patiënten niet extra naar het ziekenhuis te komen, de onderzoeken vinden plaats tijdens de reguliere controle van de patiënt. Patiënten geven eenmalig een extra buis bloed af tijdens de reguliere bloedafname, hier zijn dus geen extra risico's aan verbonden. Controles ondergaan eenmalig een venapunctie, hierbij worden drie buisjes bloed afgenomen.

Patiënten, die deelnemen aan de deelstudie lange termijn effecten van bewegingstraining, zal éénmalig gevraagd worden naast hun reguliere afspraak een halve dagdeel extra aanwezig te zijn op de polikliniek (circa 6 uur) voor de bovengenoemde onderzoeken.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

dr. Molewaterplein 60
Rotterdam 3015 GD
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

dr. Molewaterplein 60
Rotterdam 3015 GD
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. patienten moeten een bevestigde diagnose ziekte van Pompe hebben. Dit betekent dat de ziekte moet zijn bevestigd door deficientie van a-glucosidase in leukocyten, fibroblasten of spierweefsel, of door een gedocumenteerde mutatie in het a-glucosidase gen.
2. De patient moet symptomen hebben van de ziekte van Pompe zoals, spierzwakte, verminderde longfunctie of cardiomyopathie
3. Ouders die deelnemen aan het deelonderzoek naar neonatale screening moeten bewezen drager zijn van de ziekte van Pompe. Bij deze ouders is in het verleden reeds dragerschap aangetoond.
4. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar bewegingstraining dienen minimaal 17 jaar oud te zijn en tenminste 1 jaar behandeld te worden met enzymtherapie.
5. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek over pijn bij de ziekte van Pompe moeten 18 jaar of ouder zijn.
6. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek over de stijfheid van de aorta moeten 18 jaar of ouder zijn.
7. Patienten die deelnemen aan het deelonderzoek naar de functie van het diafragma door middel van MRI in combinatie met spirometrie moeten 8 jaar of ouder zijn. Daarnaast moeten ze 30 minuten op de rug in een MRI scan kunnen leggen en geen contra indicaties hebben om in een MRI scan te mogen (zoals een pacemaker of metalen in het lichaam).
8. Alle patienten ouder dan 18 jaar zullen deelnemen aan het deelonderzoek naar scapula alata.
9. Patienten die deelnemen aan het internationale onderzoek naar behandelregimes moeten gediagnosticeerd zijn voor de leeftijd van 12 maanden en hypertrofische cardiomyopathie hebben.
10. Alle patienten met de klassiek infantiele vorm van de ziekte van Pompe zullen deelnemen aan het onderzoek naar betrokkenheid van het centrale en perifeer zenuwstelsel: een deel van de patienten met een niet-klassiek fenotype (oudere kinderen en volwassenen) doen hier ook aan mee. MRI van hersenen en spieren (onderdeel van dit deelonderzoek) zullen tevens worden verricht bij 10-15 gezonde controles
11. Alle patienten die ouder dan 18 jaar zijn zullen worden gevraagd deel te

nemen aan het deelonderzoek naar cardiovasculaire morbiditeit.

12. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar lange termijn effecten van bewegingstraining dienen te hebben geparticipeerd in de eerdere trainingsstudie. Patiënten die worden benaderd als mogelijke controle dienen minimaal 17 jaar oud te zijn en bij voorkeur minimaal 8 jaar behandeld te worden met enzymtherapie.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Patiënten die waarschijnlijk geen baat hebben bij de therapie
2. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar bewegingstraining mogen niet deelnemen aan een ander trainingsprogramma.
3. Patiënten die deelnemen aan het deelonderzoek naar de functie van het diafragma door middel van MRI in combinatie met spirometrie mogen geen invasieve beademing of non-invasieve beademing overdag gebruiken en mogen geen metalen in het lichaam hebben.
4. Patiënten en gezonde controles, bij wie MRI van hersenen en spieren zal worden verricht (deelonderzoek betrokkenheid van het centrale en perifere zenuwstelsel) mogen geen metaal in het lichaam hebben.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	22-06-2007
Aantal proefpersonen:	152
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Myozyme
Generieke naam:	alglucosidase alfa
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-04-2007
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-05-2007
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-07-2007
Soort:	Amendement
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-11-2009
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-09-2010
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-07-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-03-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-10-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-01-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-09-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-01-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-02-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-11-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-03-2018
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-07-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-11-2019
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: 22791

Bron: NTR

Titel:

In overige registers

Register	ID
CTIS	CTIS2024-518269-92-00
EudraCT	EUCTR2007-001375-11-NL
CCMO	NL16769.078.07
Ander register	not applicable