

Een prospectieve, enkel-centrum, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde, tweedelige Fase 1-studie om het effect van enkelvoudige therapeutische en supra-therapeutische doseringen lucerastat op de QT/QTc-intervalduur bij gezonde vrijwilligers te beoordelen

Gepubliceerd: 08-01-2019 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Primaire doelstelling Deel A* Het bepalen van de supra-therapeutische dosis van lucerastat welke in studie deel B gebruikt zal worden. Deel B* Om aan te tonen dat lucerastat geen effect heeft op de QT interval gecorrigeerd voor een hartslag(QTc)-...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON48323

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CS0311 (ID-069-106)

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

Lysosomale stapelingsziekte, Ziekte van Fabry

Aandoening

Metabolic disorder - Lysosomal storage disease

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Idorsia Pharmaceuticals Ltd

Overige ondersteuning: Idorsia Pharmaceuticals Ltd.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Dubbel-blind, Gerandomiseerd, grondige QT studie, Lucerastat

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Cardiodynamische variabelen

Secundaire uitkomstmaten

Pharmacokinetische, veiligheid en verdraagbaarheid eindpunten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Lucerastat wordt ontwikkeld voor de behandeling van de ziekte van Fabry, een zeldzame erfelijke aandoening. De ziekte van Fabry is een zogenaamde lysosomale opslagstoornis

Doel van het onderzoek

Primaire doelstelling

Deel A

* Het bepalen van de supra-therapeutische dosis van lucerastat welke in studie deel B gebruikt zal worden.

Deel B

* Om aan te tonen dat lucerastat geen effect heeft op de QT interval gecorrigeerd voor een hartslag(QTc)-interval van meer dan 10 ms met behulp van concentratie-QTc analyse.

Onderzoeksopzet

Prospectieve, single-center, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde, tweedelige fase 1-studie om het effect van therapeutisch onderzoek te beoordelen doseringen van Lucerastat op de duur van de QT/QTc interval in gezonde vrijwilligers.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Lucerastat, moxifloxacin of placebo

Inschatting van belasting en risico

Het risico voor de gezondheid bij de gekozen dosis is beperkt, maar de vrijwilligers kunnen een van de bijwerkingen ervaren die zijn beschreven in de ICF of symptomen die niet eerder zijn gemeld.

De gezondheid van vrijwilligers wordt tijdens het onderzoek nauwlettend gevolgd om deze risico's te minimaliseren.

Als de vrijwilligers bijwerkingen ervaren, zal de onderzoeker ze waar nodig behandelen. Als er nieuwe informatie beschikbaar is over de veiligheid van het onderzoeksmedicatie, worden de vrijwilligers zo snel mogelijk geïnformeerd.

De bloedinzamelingsprocedure is niet gevaarlijk.

Contactpersonen

Publiek

Idorsia Pharmaceuticals Ltd

Hegenheimermattweg 91
Allschwil CH-4123
CH

Wetenschappelijk

Idorsia Pharmaceuticals Ltd

Hegenheimermattweg 91
Allschwil CH-4123
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)

Alleen part A

1. Gezonde mannelijke vrijwilligers in de leeftijd tussen 18 en 55 jaar (inclusief) bij Screening. ;Alleen part B
2. Gezonde mannelijke en vrouwelijke vrijwilligers in de leeftijd van 18 en 55 jaar (inclusief) bij Screening. ;Part A en B
3. Een ondertekend informed consent in een voor de betreffende persoon begrijpelijke taal voorafgaand aan een 'door studie verplichte'-procedure.
4. Body mass index van 18,0 tot 30,0 kg/m² (inclusief) bij Screening. Een lichaamsgewicht van ten minste 50,0 kg bij screening en voorafgaand aan de eerste toediening van studie medicatie. ;Verdere inclusie criteria is te vinden in the protocol sectie 3.2.2.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Alleen part B

1. Een bekende gevoeligheid voor moxifloxacin of voor één van de hulpstoffen. ;Part A en B
2. Eerdere blootstelling aan lucerastat.
3. Een bekende overgevoeligheid voor één van de hulpstoffen van lucerastat.
4. Een bekende overgevoeligheid of allergie voor natuurlijke rubberlatex. ;Verdere exclusie criteria is te vinden in het protocol sectie 3.2.3

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blindering:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	13-02-2019
Aantal proefpersonen:	44
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-01-2019
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-01-2019
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	EUCTR2018-004546-42-NL
CCMO	NL68517.056.18