

Een open-label onderzoek ter beoordeling van de werkzaamheid en veiligheid van alirocumab bij kinderen en jongeren met homozygote familiale hypercholesterolemie

Gepubliceerd: 16-05-2018 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Primair doel: Het onderzoeken van het effect van alirocumab op LDL-C na een behandeling van 48 weken in patiënten met homozygote familiale hypercholesterolemie in de leeftijd van 8 t/m 17 jaar. Secundaire doelen: - Onderzoeken van de veiligheid en...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON48896

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Een onderzoek naar het effect van alirocumab bij kinderen met homozygote FH

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

Homozygote familiale hypercholesterolemie, hoog cholesterol

Aandoening

Familiaire hypercholesterolemie

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Clinical Study Unit
Overige ondersteuning: Sanofi

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Alirocumab, Familiaire hypercholesterolemie, Kinderen, Open-label

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Procentueel verschil in LDL-C van baseline tot week 12 in de intent-to-treat (ITT) populatie, waarbij alle LDL-C-waarden worden gebruikt, ongeacht de therapietrouw.

Secundaire uitkomstmaten

- Procentueel verschil in LDL-C van baseline tot week 12 in de ITT-populatie, waarbij alle LDL-C-waarden tijdens de behandelingsperiode worden gebruikt.
- Procentueel verschil in LDL-C vanaf de basislijn tot week 24 en 48.
- Percentage verandering in Apo B, niet-HDL-C, totaal-C, Lp (a), HDL-C, nuchter TG en Apo A-1 van baseline tot week 12, 24 en 48.
- Percentage deelnemers met *15% vermindering van LDL-C in week 12, 24 en 48.
- Het absolute verschil in LDL-C van baseline tot Weeks 12, 24 en 48.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Familiaire hypercholesterolemie (FH) is een overerfbare lipiden-aandoening, gekarakteriseerd door ernstig verhoogde LDL-C waarden dat leidt tot premature atherosclerose en cardiovasculaire aandoeningen. Van FH is bekend dat het belangrijke cardiovasculaire consequenties heeft, welke al op kinderleeftijd beginnen. Om effectief te zijn in de preventie van hart-en vaatziekten, zal de preventie vroeg moeten starten, ruim voordat de symptomen er zijn.

Alirocumab is een antilichaam dat aangrijpt op een specifiek eiwit (PCSK9) welke leidt tot een vermindering van het aantal receptoren op de levercel dat LDL cholesterol verwijderd uit het bloed. Doordat het PCSK9 wordt geblokkeerd zullen er meer receptoren beschikbaar zijn om het LDL cholesterol uit het bloed te kunnen halen, wat leidt tot lagere LDL cholesterol waarden.

Dit onderzoek is opgezet om de effectiviteit, veiligheid en farmacokinetiek van alirocumab te onderzoeken in kinderen met homozygote familiale hypercholesterolemie.

Doel van het onderzoek

Primair doel: Het onderzoeken van het effect van alirocumab op LDL-C na een behandeling van 48 weken in patiënten met homozygote familiale hypercholesterolemie in de leeftijd van 8 t/m 17 jaar.

Secundaire doelen:

- Onderzoeken van de veiligheid en verdraagbaarheid van alirocumab
- Onderzoeken van het farmacokinetisch profiel van alirocumab
- Onderzoeken van de effecten van alirocumab op andere lipidenparameters

Onderzoeksopzet

Fase 3, open label, 75 of 150 mg/ml (afhankelijk van gewicht)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alirocumab 75 of 150 mg/ml SC Q2W

Inschatting van belasting en risico

Risico's gerelateerd aan de bloedafname, onderzoeksprocedures en eventuele bijwerkingen van het onderzoeksmiddel.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105BP
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105BP
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Kinderen (jongens en meisjes) in de leeftijd van 8 tot 17 jaar ten tijde van het tekenen van het informed consent met homozygote familiale hypercholesterolemie en een berekende LDL-C groter of gelijk aan 3.37 mmol/L ondanks behandeling met een optimale dosis statines met of zonder ander(e) lipideverlagend(e) middel(en) (of niet statine lipidenverlagend(e) middel(en) als de patiënt statine intolerant is), bij een stabiele dosis van minimaal 4 weken voorafgaand aan de screening visite.

-Voor patiënten die een stabiele LDL-afereze ondergaan, moeten de behandeling met afereze ten minste 6 maanden voor de screening visite hebben gestart.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Patiënten jonger dan 10 jaar die geen eerdere pogingen hebben ondernomen om LDL-C te verlagen met andere middelen.
- Patiënten met een berekende LDL-C minder dan 3.37 mmol/L bij de screening visite behandeld met een optimale dosis statines met of zonder ander(e) lipideverlagend(e) middel(en) (of niet statine lipidenverlagend(e) middel(en) als de patiënt statine intolerant is), bij een stabiele dosis van minimaal 4 weken voorafgaand aan de screening visite.
- Gewicht < 25 kg
- Patienten in de leeftijd van 8 of 9 jaar niet in Tanner stadium 1 zijn en patiënten van 10 tot 17 jaar niet in Tanner stadium 2.
- Diabetes type 1 of 2 in de voorgeschiedenis
- Schildklieraandoeningen in de voorgeschiedenis
- Hypertensie in de voorgeschiedenis
- Nuchtere triglyceriden groter dan 3.95 mmol/L bij de screeningsvisite.
- Ernstige nierfunctiestoornissen (bv, eGFR <30 mL/min/1.73 m² bij screening visite)
- ALT of AST >2 ULN
- CPK >3 x ULN

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	14-09-2018

Aantal proefpersonen: 1
Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Praluent
Generieke naam: alirocumab
Registratie: Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-05-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-07-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-10-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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

Ander register

EudraCT

CCMO

ID

2017-002297-39

EUCTR2017-002297-39-NL

NL65086.018.18