

Een fase III open-label extensiestudie ter evaluatie van de veiligheid en werkzaamheid op lange termijn van idebenon bij patiënten met de ziekte van Duchenne (DMD) die de SIDEROS-studie hebben voltooid

Gepubliceerd: 16-05-2018 Laatste bijgewerkt: 11-04-2024

Primair:* De veiligheid beoordelen op lange termijn van idebenon bij DMD-patiënten die de SIDEROS-studie hebben voltooid. Secundair:* De evolutie op de lange termijn van de ademhalingsfunctie beschrijven bij met idebenon behandelde DMD-patiënten die...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON48973

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

SIDEROS-E

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

neuromusculaire ziekte, spierdystrofie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Santhera Pharmaceuticals (Switzerland),

Overige ondersteuning: The research is funded by the sponsor company as described in the question B6/B7

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Duchenne spierdystrofie, Idefenon, SNT-III-012-E

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primair:

* Standaard veiligheidsbeoordelingen, inclusief aantal voortijdige stopzettingen van de studiebehandeling als gevolg van bijwerkingen, de incidentie en de ernst van de bijwerkingen, de waarden en de veranderingen in veiligheidslaboratoriumparameters t.o.v baseline, vitale functies en elektrocardiogram (ECG).

Secundaire uitkomstmaten

Secundair:

* Veranderingen t.o.v. baseline in geforceerde vitale capaciteit (FVC) als percentage van de voorspelde waarde (FVC%p), Peak Expiratory Flow (PEF) als percentage van de voorspelde waarde (PEF%p) en geforceerd uitgeademd volume in 1 seconde (FEV1) als percentage van de voorspelde waard (FEV1% p).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne spierdystrofie (DMD) is een ziekte die ongeveer 1 op de 3000 jongens treft. De ziekte tast de spieren aan, waaronder de spieren van de ademhaling en

het hart. Er is behoefte aan nieuwe behandelingen voor deze ziekte, maar ook aan de beoordeling van de veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van deze behandelingen. Idebenon is een kleine molecuul die geoptimaliseerd is om het transport van elektronen in mitochondriën ("cellulaire energiecentrales") te vergemakkelijken. Ze draagt bij tot het behoud van een correcte elektronenstroom, die nodig is voor de productie van cellulaire energie. Zenuwen- en spiercellen, waaronder long- en hartspiercellen, zijn bijzonder energieverwendend en zijn daardoor vatbaarder voor snel functieverlies of celdood wanneer de mitochondriën niet voldoende energie produceren. Men neemt aan dat, door de mitochondriale functie te handhaven en cellen te beschermen tegen oxidatieschade, Idebenon celbeschadiging kan voorkomen en de productie van energie in beschadigd zenuw- en spierweefsel kan verhogen bij patiënten met DMD.

Doel van het onderzoek

Primair:

- * De veiligheid beoordelen op lange termijn van idebenon bij DMD-patiënten die de SIDEROS-studie hebben voltooid.

Secundair:

- * De evolutie op de lange termijn van de ademhalingsfunctie beschrijven bij met idebenon behandelde DMD-patiënten die de SIDEROS-studie hebben voltooid, ingedeeld naar achtergrondfactoren, waaronder, maar niet beperkt tot leeftijd, DMD-geschiedenis (bijv. tijdstip dat patiënt niet meer ambulant was, mutatietype), soort steroïde-regime en de toewijzing van studiebehandeling in het SIDEROS-onderzoek.

Overige:

- * De mogelijk bepalen om metingen van de ademhalingsfunctie met een handmatig nmd-1-apparaat thuis uit te voeren.
- * De correlatie bepalen tussen de evolutie van de ademhalingsfunctie en klinisch relevante DMD-gerelateerde gebeurtenissen (bronchopulmonale bijwerkingen, gebruik van antibiotica, ziekenhuisopnames als gevolg van ademhalingsstoornissen, behandelingsinterventies inclusief kunstmatige beademing, bereik van Peak Cough Flow-drempels (PCF)).
- * De correlatie bepalen tussen de evolutie van de ademhalingsfunctie en de resultaten van de gezondheidsgerelateerde 'kwaliteit van leven' vragenlijsten voor patiënten en zorgverleners.

Onderzoeksopzet

Open label, multicentrische vervolgstudie met één groep met 4 studiebezoeken om de 6 maanden (bezoek 1/baseline, bezoek 2/week 26, bezoek 3/week 52 en bezoek 4/week 78). Bezoek 8/week 78 in de SIDEROS-studie komt overeen met bezoek 1/baseline in SIDEROS-E.

Aan het einde van de SIDEROS-E-studie zullen patiënten de mogelijkheid hebben om de behandeling met idebenon in andere omstandigheden voort te zetten, aangepast aan de regelgeving van de individuele landen, totdat het geneesmiddel verkrijgbaar is in de handel voor DMD patiënten.

Onderzoeksproduct en/of interventie

NA

Inschatting van belasting en risico

Ademhalingstests:

Voor de ademhalingstests zult u in een speciaal toestel moeten ademen. Men zal u tonen hoe dat moet maar er is een

beschrijving van wat u moet doen: Eerst moet u diep inademen en ervoor zorgen dat uw lippen goed rond het mondstuk zijn

gesloten. U moet daarna zo snel als u kunt uitademen in het toestel tot uw longen leeg zijn. Hoelang deze test duurt, hangt af van

de grootte van uw longen, maar meestal duurt het maar enkele seconden. We kunnen u ook vragen om opnieuw in te ademen en traag uit te ademen zolang u kunt.

U hebt eventueel een clip op uw neus nodig zodat u niet tegelijkertijd via de neus uitademt, of een klein masker op uw gezicht als

u uw lippen niet goed rond het mondstuk kunt sluiten. U krijgt een klein toestel, nmd1 genoemd, om mee naar huis te nemen zodat u het tussen de bezoeken in kunt gebruiken. Dat doen we om hetzelfde te meten als bij de

ziekenhuistests, maar dan thuis. De ademhalingstherapeut zal u tonen hoe u het toestel moet gebruiken. Tijdens deze tests, thuis en in het ziekenhuis, mag u zich niet onwel voelen, maar het is wel mogelijk dat u zich

een beetje duizelig of kortademig voelt omdat u zo diep hebt moeten ademen. U mag een pauze van 5 minuten nemen om even te rusten tussen de tests in. De ademtests, met inbegrip van de thuishtests met het nmd1toestel, zijn

onschadelijk en meten alleen hoe goed en hoe krachtig

u in en uit kunt ademen. Voor de ademtests is het heel belangrijk dat u de instructies volgt van de verantwoordelijke in het ziekenhuis en van de korte handleiding voor de tests thuis. De ademtests worden in het ziekenhuis bij elk bezoek uitgevoerd met het toestel van het ziekenhuis en het draagbare

nmd1-toestel en thuis één keer per week met het draagbare nmd1-toestel tot het einde van de behandeling.

Elektrocardiogram (ECG)

Er is een test om het hart te meten, een elektrocardiogram (ecg). Deze test is ook niet invasief en pijnloos. Het elektrocardiogram

(ecg) is een registratie van uw hartslag door de kleine veranderingen van de elektriciteit die uw hart produceert op het huidoppervlak te meten. Om deze veranderingen te meten, worden elektrodenpleisters op uw borst geplaatst,

waaraan draden zijn bevestigd. De test duurt ongeveer 5 tot 10 minuten. Er zullen 2 ecg's worden gedaan: een voordat u de behandeling start tijdens bezoek 1/baseline, en een wanneer u de behandeling hebt beëindigd.

Bloedstaalanalyse

Bij elke bezoek zullen bloedstalen worden afgenomen voor analyse. Het verzamelen van de bloedstalen is de enige procedure in de studie die eventueel ongemak zou kunnen veroorzaken. Bij elke studiebezoek wordt ongeveer 10 ml bloed afgenomen, dat is ongeveer hetzelfde als 2 eetlepels. Uw bloedstalen worden op dezelfde dag van de afname naar een centraal laboratorium in het Verenigd Koninkrijk gestuurd. Uw bloedstalen worden volledig gebruikt voor de analyses en worden niet bewaard, noch in het ziekenhuis noch in het centraal laboratorium

Voordelen:

We weten nog niet helemaal hoe Idebenon uw ziekte kan helpen maar uit de gegevens die we tot nu uit vorige studies hebben verzameld, mogen we veronderstellen dat Idebenon de achteruitgang van uw ademhaling kan vertragen. Ook andere mensen met deze ziekte kunnen voordeel hebben bij de kennis die we uit deze studie halen. Maar we zijn niet zeker of uw deelname aan de studie voor u enig voordeel zal brengen.

Contactpersonen

Publiek

Santhera Pharmaceuticals (Switzerland),

Hohenrainstrasse 24 Pratteln
4133 Pratteln
CH

Wetenschappelijk

Santhera Pharmaceuticals (Switzerland),

Hohenrainstrasse 24 Pratteln
4133 Pratteln
CH

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)

Voltooiing van de SIDEROS-studie bij bezoek 8/ week 78

Ondertekend en gedateerd formulier voor geïnformeerde toestemming voor SIDEROS-E

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Patiënten die SIDEROS voortijdig hebben stopgezet (d.w.z. niet alle bezoeken van V1 tot V8 hebben afgelegd)

Veiligheid, verdraagbaarheid of andere problemen die zich voordoen in de loop van de SIDEROS-studie, die naar de mening van de onderzoeker een belangrijk risico inhouden voor de patiënt of die de deelname van de patiënt aan SIDEROS-E aanzienlijk kunnen verstoren.

Gebruik van een ander experimenteel geneesmiddel dan de studiemedicatie

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:	04-10-2020
Aantal proefpersonen:	11
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Raxone
Generieke naam:	Idebenon
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-05-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-01-2020
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 28-02-2020
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 07-09-2020
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

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	EUCTR2017-004279-30-NL
CCMO	NL66044.058.18