

Een Internationaal, Multicenter, Open-Label, Langdurig Extensieonderzoek om de Veiligheid van Diacerein 1% Zalf Topische Formulering te Evalueren bij Personen met Epidermolysis Bullosa Simplex (EBS)

Gepubliceerd: 06-12-2017 Laatste bijgewerkt: 04-01-2025

Het voornaamste doel van dit onderzoek is het over lange termijn evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van Diacerein 1% zalf gedurende 2 behandelingscycli bij personen met EBS die eerder hebben meegedaan aan onderzoeken CCP-020-301 of CCP...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Epidermale en dermale aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON48978

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CCP-020-302

Aandoening

- Epidermale en dermale aandoeningen

Synoniemen aandoening

Epidermolysis Bullosa Simplex, Vlinderziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Medpace

Overige ondersteuning: Castle Creek Pharmaceuticals LLC

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Diacereïne, Epidermolysis Bullosa Simplex, Vlinderziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Veiligheid zal geëvalueerd worden in gevallen van voorkomen van ernstige voorvallen en veranderingen in klinische laboratoriumparameters, bevindingen bij klinische beoordeling, vitale functies, gewicht en urine metingen.

Secundaire uitkomstmaten

-

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Epidermolysis bullosa simplex (EBS) is een zeldzame genetische huidaandoening die gekarakteriseerd wordt door de fragiliteit van de huid en slijmvliezen, resulterend in pijnlijke blaren en erosies al na klein trauma, en is geassocieerd met significante morbiditeit en mortaliteit. EBS is zowel een kinder als een volwassenenziekte die doorgaans jongere patiënten het ergst treft. Diacereïne 1% zalf is een topische zalf die diacereïne (4,5 bis[acetyloxy]-9,10-dihydro-9,10-dioxo-2-anthraceen carboxylzuur, ook bekend als diacetyl-rheïne) bevat, een uiterst gezuiverd antrachinon derivaat, en wordt ontwikkeld voor de behandeling van EBS. Diacereïne in topische formulering wordt gehydrolyseerd naar rheïne in de opperhuid en lederhuid na toediening. Het is aangetoond dat diacereïne en rheïne de in vitro en in vivo productie en activiteit van interleukine-1* (IL-1*) en andere pro-inflammatoire cytokines remt. IL-1* is een pro-inflammatoir cytokine dat is gerelateerd aan een aantal inflammatoire en auto-immuunziektes, waaronder reumatoïde artritis (RA), OA, hemofiele artropathie, jicht, type 2 diabetes mellitus (T2DM), diabetische nefropathie (DN) en EBS. In vitro en in vivo dierproeven hebben aangetoond dat zowel diacereïne als de actieve metaboliet

reïne de productie en activiteit van proinflammatoire en prokatabolische cytokines zoals IL-1 en IL-6, kunnen remmen, net als de expressie van induceerbare stikstofoxide (iNOS) en tumor necrose factor-* (TNF-*)

Doel van het onderzoek

Het voornaamste doel van dit onderzoek is het over lange termijn evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van Diacerein 1% zalf gedurende 2 behandelingscycli bij personen met EBS die eerder hebben meegedaan aan onderzoeken CCP-020-301 of CCP-020-101.

Onderzoeksopzet

Het onderzoek schrijft personen in van twee feeder-onderzoeken, CCP-020-301 en CCP-020-101. Personen die inschrijven zullen, na een screening, een 16 weken durende cyclus volgen als zij laesies hebben ontwikkeld, waarin zij het onderzoeksmiddel gebruiken voor de eerste 8 weken, en het onderzoeksmiddel niet gebruiken voor de volgende 8 weken. Deze cyclus zal maximaal twee keer gedaan worden, en personen kunnen geen nieuwe cyclus beginnen na week 36.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Personen die meedoen zullen dagelijks Diacerein 1% zalf aanbrengen gedurende 8 weken van een 16 weken cyclus.

Inschatting van belasting en risico

Risico*s: Mogelijke bijwerkingen van de onderzoeksmedicatie

Lasten: Bloedafnames, instructies volgen voor het gebruik van de onderzoeksmedicatie, het invullen van vragenlijsten

Contactpersonen

Publiek

Medpace

Rivium 2de straat 55
Capelle aan den IJssel 2909 LG
NL

Wetenschappelijk

Medpace

Rivium 2de straat 55
Capelle aan den IJssel 2909 LG
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. Naar de mening van de onderzoeksarts, is de persoon in staat de vereisten van het protocol te begrijpen en te volgen.
2. De persoon of, indien van toepassing, de wettige vertegenwoordiger van de persoon tekent en dateert een schriftelijke geïnformeerde toestemmingsformulier en enige verplichte privacy toestemmingen die nodig zijn voor het begin van onderzoeksprocedures
3. De persoon heeft een gedocumenteerde genetische mutatie die overeenkomt met EBS.
4. De personen die deel hebben genomen aan studie CCP-020-301 of CCP-020-101 zijn geschikt om deel te nemen aan de CCP-020-302 open label extensie-onderzoek, ongeacht hun voltooiingsstatus in het feeder-onderzoek.
5. De persoon/verzorger stemt in met het rapporteren van het gebruik van enige topische therapieën die zijn toegepast op de EBS laesies (bijv. Medicinale schoonmaakproducten, medicinaal bleekmiddel, verdund bleekwater, topische antiseptica, topische ontsmettingsmiddelen, etc.)
6. De persoon een vrouw is die kinderen kan krijgen, moet zij een negatieve

urine zwangerschapstest hebben en instemmen met het gebruiken van een goedgekeurde effectieve method van anticonceptie, zoals gedefinieerd in het protocol, voor de duur van het onderzoek.

7. De persoon lacteert niet en is niet van plan om zwanger te worden gedurende de onderzoeksperiode.

8. De persoon is bereid en in staat om alle onderzoeksinstructies te volgen en aanwezig te zijn bij alle onderzoeksbezoeken.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De persoon heeft te behandelen EBS laesies die geïnfecteerd zijn (bijv. EBS laesies die topische antibiotica nodig hebben om een infectie te behandelen).

2. De persoon heeft tekenen van een systemische infectie of heeft systemische antibiotica gebruikt binnen 7 dagen vóór de baseline.

3. De persoon heeft het feeder-onderzoek niet afgerond door een bijwerking waarvan wordt geacht dat deze gerelateerd of mogelijk gerelateerd is aan de onderzoeksmedicatie.

4. De persoon heeft een verandering in klinische status ondervonden van de voederstudie die, naar mening van de onderzoeksarts, het persoon aan bovenmatig risico blootstelt bij deelname.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	16-05-2018
Aantal proefpersonen:	6
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Diacereine 1% Zalf
Generieke naam:	diacereine

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-12-2017
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-02-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-04-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-05-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-10-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-06-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-11-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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	EUCTR2017-003757-41-NL
CCMO	NL64012.042.17

Resultaten

Einddatum onderzoek:	02-07-2019
Datum resultaten gemeld:	11-08-2020
Totaal aantal deelnemers:	3

Datum eerste publicatie onderzoek

01-01-1900