

Een multi-center, open-label, single-arm, voor en na de switch studie waarbij de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van alemtuzumab bij pediatrische patiënten met relapsing-remitting multiple sclerose (RRMS) met ziekte-activiteit op eerdere disease modifying therapie (DMT) wordt geëvalueerd.

Gepubliceerd: 11-05-2017 Laatste bijgewerkt: 13-04-2024

Primair: Het bepalen van de effectiviteit, veiligheid en verdraagbaarheid van alemtuzumab intraveneus (IV) bij kinderen van 10 tot en met 17 jaar met relapse remitting multiple sclerose (RRMS) die ziekteactiviteit ervaren bij gebruik van een disease...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Demyelinisatieaandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON49585

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

LEMKIDS

Aandoening

- Demyelinisatieaandoeningen

Synoniemen aandoening

demyeliniserende ziekte, Multiple sclerose

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Sanofi-aventis

Overige ondersteuning: Genzyme Europe B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Fase III, Kinderen, Multiple sclerose, Werkzaamheid

Uitkomstmaten**Primaire uitkomstmaten**

Het aantal nieuwe of uitbreiding van T2-laesies, tijdens de voortzetting van eerdere DMT (periode 1) in vergelijking met een gelijke periode na de eerste kuur met alemtuzumab (Periode 2).

Secundaire uitkomstmaten

- * Aantal patiënten met nieuwe of uitbreiding van T2-laesies tijdens de voortzetting van eerdere DMT (periode 1) in vergelijking met een gelijke periode na de eerste alemtuzumab kuur (Periode 2)
- * Jaarlijkse relapse rate
- * Beoordeling van cognitieve test scores door Brief Visuospatial Memory Test
- * Beoordeling van generieke pediatrische kwaliteit van leven
- * PK parameters
- * PD parameters
- * Aantal patiënten met adverse events
- * Beoordeling van de ontwikkeling van anti-alemtuzumab antilichamen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Multiple sclerose (MS) is een demyeliniserende aandoening van het centraal zenuwstelsel. Er zijn ongeveer 2,5 miljoen mensen wereldwijd met deze aandoening. MS is de voornaamste oorzaak van neurologische invaliditeit bij jong volwassenen. Multiple sclerose wordt typisch beschouwd als een ziekte van jonge volwassenen. Echter, pediatrische MS, gedefinieerd als het begin van MS vóór de leeftijd van 16 jaar valt, wordt steeds meer erkend en is goed voor ongeveer 5 procent van de gevallen.

Doel van het onderzoek

Primair:

Het bepalen van de effectiviteit, veiligheid en verdraagbaarheid van alemtuzumab intraveneus (IV) bij kinderen van 10 tot en met 17 jaar met relapse remitting multiple sclerose (RRMS) die ziekteactiviteit ervaren bij gebruik van een disease modifying therapy (DMT).

Secundair:

Het bepalen van de farmacokinetiek, farmacodynamiek, de vorming van antidrug antilichamen en de mogelijke effecten van alemtuzumab op andere kenmerken van multiple sclerose (MS), zoals cognitie en de kwaliteit van leven.

Onderzoeksopzet

Een fase III, multi-center, open-label, single-arm onderzoek, voor en na de overstap van DMT naar alemtuzumab.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Twee kuren intraveneuze (IV) infusie met alemtuzumab. Kuur 1 (initiele kuur) met alemtuzumab wordt toegediend op 5 opeenvolgende dagen, gevolgd door kuur 2 (tweede kuur) op 3 achtereenvolgende dagen 12 maanden na de initiele kuur.

Inschatting van belasting en risico

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

Contactpersonen

Publiek

Sanofi-aventis

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105BP
NL

Wetenschappelijk

Sanofi-aventis

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)

- Patiënten met RRMS met de leeftijd van 10 jaar tot 18 jaar aan het begin van de studie komen in aanmerking. Patiënten moeten voldoen aan de criteria van de diagnose van MS, zoals gedefinieerd door de International Paediatric Multiple Sclerosis Study Group criteria voor pediatrische MS, en de criteria van MS op basis van McDonald criteria 2010.
- Getekend informed consent / toestemming verkregen van de patiënt en de

wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt (ouder of voogd) volgens de plaatselijke voorschriften.

-Expanded Disability Status Scale (EDSS) score 0.0 tot en met 5.0 bij screening.

-Tenminste 2 geregistreerde MS aanvallen, en ten minste 1 MS aanval (schub) in het afgelopen jaar tijdens behandeling met interferon bèta therapie (IFNB) of glatirameer-acetaat (GA) na deze therapie gedurende ten minste 6 maanden te hebben gebruikt.

-Ten minste 1 van de volgende:

**1 nieuwe of groter wordende T2 hyperintense laesie of gadolinium aankleurende laesie, terwijl op dezelfde voorafgaande therapie (IFNB) of glatirameer acetaat (GA), OF

*2 of meer schubs in het afgelopen jaar, OF

*heeft tenminste 2 MS DMTs geprobeerd.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

-Elke eerdere blootstelling aan alemtuzumab.

-Elke progressieve of vorm van MS zonder schubs.

-Behandeling met natalizumab, daclizumab, fingolimod, methotrexate, azathioprine, cyclosporine, of mycophenolate mofetil tijdens de afgelopen 6 maanden, of zoals bepaald door de behandelende arts het hebben van resterende immuunsuppressie van deze of andere MS behandelingen.

-Eerdere behandeling met mitoxantrone, cyclophosphamide, cladribine, rituximab, ocrelizumab, leflunomide of een andere cytotoxische therapie.

-CD4 +, CD8 + of CD19 + absolute aantal cellen in het bloed bij de screening onder de ondergrens van normaal (LLN).

-Eerder gedocumenteerde geschiedenis van trombocytopenie of het aantal bloedplaatjes bij screening

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland
Status: Zal niet starten
Aantal proefpersonen: 1
Type: Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Lemtrada
Generieke naam: alemtuzumab
Registratie: Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 11-05-2017
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 28-09-2017
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 23-01-2018
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 05-02-2018
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO
Datum: 26-03-2018

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	05-04-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	21-06-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	28-06-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	16-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	05-02-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	21-05-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	26-08-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-09-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-10-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-11-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-02-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-02-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-07-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-07-2020
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

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
Ander register	2016-003100-30
EudraCT	EUCTR2016-003100-30-NL
CCMO	NL60747.078.17