

Een onderzoek ter evaluatie van de werkzaamheid en veiligheid op lange termijn van ralinepag bij patiënten met PAH via een open-label vervolgonderzoek (ADVANCE Extension)

Gepubliceerd: 19-12-2018 Laatst bijgewerkt: 07-09-2024

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-509305-68-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Evaluatie van veiligheid en verdraagbaarheid van ralinepag (ADP811) op de lange termijn bij onderzoeksdeelnemers die hebben...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Longvaataandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON49858

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ROR-PH-303 (APD811-303)

Aandoening

- Longvaataandoeningen

Synoniemen aandoening

hoge long bloeddruk, pulmonale arteriële hypertensie (PAH)

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: United Therapeutics Corporation

Overige ondersteuning: pharmaceutical industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Functionele klasse I, hypertensie WHO, Pulmonaal

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Beoordeling van de werkzaamheid omvat een evaluatie van:

- N-terminale pro-B-type natriuretisch peptide (NT-proBNP);
- 6 minuten wandeltest (6MWD);
- WHO/NYHA-functieklasse
- Het gedeelte onderzoeksdeelnemers die alle drie van de volgende bereiken (op gespecificeerde tijdstippen):
 - o NT-proBNP < 300 pg/ml
 - o 6MWD > 440 meter
 - o WHO/NYHA-functieklasse II of beter
- metingen gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (HRQoL)
- Tijd tot ziekenhuisopname ongeacht de oorzaak
- Tijd tot mortaliteit ongeacht de oorzaak

Secundaire uitkomstmaten

N/A

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

2 - Een onderzoek ter evaluatie van de werkzaamheid en veiligheid op lange termijn v ... 7-05-2025

PAH ontstaat doordat de kleine slagaders (bloedvaten) in uw longen vernauwd of verstopt raken. Deze vernauwde of verstopte bloedvaten kunnen de stroming van het bloed bemoeilijken, waardoor de bloeddruk in uw longen kan toenemen. Dit betekent dat het hart harder moet werken om het bloed naar de longen te pompen. Uiteindelijk kan dit leiden tot een verminderde functie van uw hart (hartfalen). Ralinepag, het onderzoeksmiddel, is bedoeld om de prostacyclinereceptor te activeren (een eiwit dat voorkomt op cellen van bloedvaten waaraan een natuurlijk voorkomende stof, prostacycline genaamd, zich hecht). Bij patiënten met PAH kan verminderde activiteit van de prostacyclinereceptoren de bloedvaten in de longen doen vernauwen, waardoor het bloed moeilijker kan stromen. Door de activiteit van de prostacyclinereceptoren te verhogen, veronderstellen we dat ralinepag de bloedstroom naar de longen kan verbeteren, wat de symptomen van PAH (kortademigheid bij inspanning, duizeligheid, hoge bloeddruk) kan verbeteren.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-509305-68-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Evaluatie van veiligheid en verdraagbaarheid van ralinepag (ADP811) op de lange termijn bij onderzoeksdeelnemers die hebben deelgenomen aan een voorafgaand fase 2- of fase 3-onderzoek naar ralinepag.

Onderzoeksopzet

Het onderzoek APD811-303 is een multicenter, open-label verlengingsonderzoek (OLE) voor onderzoeksdeelnemers met groep 1-PAH volgens de WHO die aan een ander fase 2- of fase 3-onderzoek naar ralinepag hebben deelgenomen en die in aanmerking komen voor dit verlengingsonderzoek op basis van hun deelname aan het eerdere onderzoek.

Onderzoeksproduct en/of interventie

De behandeling met ralinepag wordt voortgezet tot 6 jaar of totdat de onderzoeksdeelnemer voortijdig stopt met de behandeling met ralinepag vanwege een bijwerking/zeer ernstige bijwerking of om een andere reden, marketing goedkeuring van ralinepag is gegeven in de regio waar de studie wordt uitgevoerd, of totdat het onderzoek door de opdrachtgever wordt gestaakt.

Inschatting van belasting en risico

De PAH-symptomen worden vaker beoordeeld dan bij de standaardbehandeling en de onderzoeksdeelnemer zal het ziekenhuis vaker moeten bezoeken.

Contactpersonen

Publiek

United Therapeutics Corporation

T.W. Alexander Drive 55
Research Triangle Park NC 27709
US

Wetenschappelijk

United Therapeutics Corporation

T.W. Alexander Drive 55
Research Triangle Park NC 27709
US

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)

Elke onderzoeksdeelnemer moet voldoen aan ALLE onderstaande inclusiecriteria om in aanmerking te komen voor opname in het onderzoek:

1. Aantoonbaar persoonlijk ondertekend en gedateerd document van geïnformeerde toestemming waarin staat dat de onderzoeksdeelnemer vóór aanvang van alle onderzoeksgelateerde procedures op de hoogte is gebracht van alle relevante aspecten van het onderzoek.
2. De onderzoeksdeelnemer is bereid en in staat om zich te houden aan de

geplande bezoeken, het behandelingsplan, laboratoriumonderzoeken en andere onderzoeksprocedures.

3. Heeft in het voorafgaande onderzoek met ralinepag de procedures van de Studie Onderzoeksmiddel Beëindigingsvisite of de Eind van Studie Visite voltooid.

4. Zowel mannelijke als vrouwelijke onderzoeksdeelnemers stemmen in met het gebruik van een zeer effectieve anticonceptiemethode gedurende de totale onderzoeksperiode vanaf het moment van geïnformeerde toestemming tot aan het uiteindelijke vervolgbezoek na 30 dagen, indien de mogelijkheid van conceptie aanwezig is. Mannelijke en vrouwelijke onderzoeksdeelnemers die in aanmerking komen, moeten er ook mee instemmen dat zij bij geen enkel conceptieproces betrokken mogen zijn (d.w.z. actief proberen zwanger te worden of zwanger te maken, spermadonatie, in-vitrofertilisatie) tijdens het onderzoek en gedurende 30 dagen na de laatste dosis ralinepag.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

De onderzoeksdeelnemer mag aan GEEN van de volgende exclusiecriteria voldoen om in aanmerking te komen voor insluiting in het onderzoek:

1. Onderzoeksdeelnemers die in het voorafgaande onderzoek met ralinepag waaraan zij deelnamen vroegtijdig met het onderzoeksmiddel zijn gestopt vanwege een bijwerking/zeer ernstige bijwerking of intolerantie, of onderzoeksdeelnemers die in het voorafgaande onderzoek met ralinepag niet alle protocolaire onderzoeksprocedures hebben afgerond bij Studie Onderzoeksmiddel Beëindigingsvisite of de Eind van Studie Visite .

2. Onderzoeksdeelnemers die tijdens deelname aan een ander onderzoek met ralinepag hun toestemming hebben ingetrokken.

3. Vrouwelijke onderzoeksdeelnemers die zwanger willen worden of bij wie de zwangerschapstest op dag 1 positief is (eerste bezoek van het open-label verlengingsonderzoek (OLE)).

4. Vrouwen die zwanger zijn, melk produceren of borstvoeding geven.

5. Onderzoeksdeelnemers die een long- of hart-/longtransplantatie hebben ondergaan of die een langdurige parenterale (intraveneuze (i.v.) of subcutane infuustoediening) of geïnhaleerde behandeling met een prostacycline of orale behandeling met een receptoragonist van het onderzoeksproduct (selexipag) in de tijd sinds hun deelname aan het oorspronkelijke onderzoek met ralinepag.

6. Mannelijke proefpersonen met een gecorrigeerd QT-interval met behulp van de formule van Fridericia ($QTcF$) > 450 msec en vrouwelijke proefpersonen met $QTcF > 470$ msec op elektrocardiogram (ECG) gemeten binnen 12 weken voorafgaand aan dag 1.

7. Onderzoeksdeelnemers bij wie om spoedeisende redenen de blindering moest worden opgeheven in een eerder fase 2 of fase 3 ralinepag onderzoek.

8. Bekende overgevoeligheid voor ralinepag of een van de bestanddelen ervan.

9. Elke mogelijke reden die de onderzoeksdeelnemer volgens de onderzoeker of de

medisch monitor uitsluit van deelname aan het onderzoek, bijv. problemen rond therapietrouw, een eerdere of tussentijds ontstane medische aandoening die deelname aan het onderzoek risicovoller zou maken of de analyse van het onderzoek zou beïnvloeden of de deelname of medewerking aan het onderzoek in de weg staat.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	22-03-2019
Aantal proefpersonen:	4
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Ralinepag
Generieke naam:	APD811

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-12-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	

Datum:	07-07-2020
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-09-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-09-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-02-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-02-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-06-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-07-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-12-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-07-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	

Datum:	10-09-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-11-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-04-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-07-2023
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	ID
CTIS	CTIS2023-509305-68-00
EudraCT	EUCTR2018-001189-40-NL
Ander register	IND 109021
CCMO	NL67366.029.18