

Een fase 3, open-label vervolgonderzoek ter beoordeling van de veiligheid en werkzaamheid van een langdurige behandeling met VX 661 in combinatie met ivacaftor bij patiënten van 12 jaar en ouder met cystische fibrose, homozygoot of heterozygoot voor de F508del-CFTR-mutatie.

Gepubliceerd: 21-09-2015 Laatste bijgewerkt: 19-04-2024

Part A De veiligheid en verdraagzaamheid op lange termijn evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor bij patiënten met CF, homozygoot of heterozygoot voor de F508del-CFTR-mutatie die in het behandelingscohort zitten. Deel B en C: Niet van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON50237

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

VX14-661-110

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten

Synoniemen aandoening

Taaislijmziekte

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Vertex Pharmaceuticals

Overige ondersteuning: Vextex Pharmaceuticals

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cystische Fibrose, extensie, F508del-CFTR, ivacaftor

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Deel A

Voor het behandelingscohort:

Veiligheid en verdraagzaamheid van langetermijnbehandeling met VX-661 in combinatie met ivacaftor op basis van bijwerkingen (AE's, Adverse Events), oftalmologische onderzoeken (deelnemers <18 jaar oud, klinische laboratoriumwaarden (serumchemie, hematologie, coagulatie, vetten, vitaminen en urineanalyse), standaard digitale elektrocardiogrammen (ECG's), vitale functies en pulsoxymetrie

Secundaire uitkomstmaten

Deel A

Voor het behandelingscohort:

- * Absolute procentuele verandering vanaf baseline van voorspelde geforceerde uitademingsvolume in 1 seconde (ppFEV1)
- * Relatieve verandering vanaf baseline in ppFEV1
- * Aantal longexacerbaties

- * Absolute verandering vanaf baseline in BMI (Body Mass Index)
- * Absolute verandering vanaf baseline in BMI z-score voor deelnemers <20 jaar oud
- * Absolute verandering vanaf baseline in cystische fibrose vragenlijst*Herziene (CFQ R) ademhalingsdomeinscore
- * Absolute verandering vanaf baseline in lichaamsgewicht
- * Absolute verandering vanaf baseline in lichaamsgewicht z-score voor deelnemers van <20 jaar
- * Absolute verandering vanaf baseline in lengte z-score voor deelnemers van <20 jaar
- * Tijd tot eerste longexacerbatie
- * Farmacokinetische (PK) parameters van VX 661, een VX-661-metaboliet (M1 661), ivacaftor, en een ivacaftor-metaboliet (M1 ivacaftor)

Voor het observationele cohort:

- * Veiligheid, zoals bepaald door ernstige gerelateerde bijwerkingen (SAE's, Serious Adverse Events)

Deel B

- * Bijwerkingen (AE's)
- * Oftalmologisch onderzoek (proefpersonen <18 jaar oud [leeftijd op de datum van geïnformeerde toestemming/instemming in het hoofdonderzoek])
- * Serumleverfunctietesten (LFT's)
- * Absolute procentuele verandering vanaf baseline van voorspelde gedwongen

expiratoire volume in 1 seconde (ppFEV1)

* Absolute verandering vanaf baseline in BMI (Body Mass Index)

* Absolute verandering vanaf baseline in BMI z-score voor deelnemers <20 jaar oud

* Aantal longexacerbaties

Deel C

* Bijwerkingen (AE's)

* Oftalmologisch onderzoek (proefpersonen <18 jaar oud [leeftijd op de datum van geïnformeerde toestemming/instemming in het hoofdonderzoek])

* Serumleverfunctietesten (LFT's)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Cystic Fibrose is een autosomale recessieve erfelijke ziekte die wordt veroorzaakt door een defect in het gen dat de CF transmembrane geleidingsregulator (CFTR) codeert, een epitheliaal chloride-ion (Cl⁻)-kanaal geactiveerd door cyclisch adenosinemonofosfaat-afhankelijk proteïnekinase A, dat verantwoordelijk is voor hulp bij de regulering van de absorptie en afscheiding van zout en water in verschillende weefsels. Deze functie is defect bij patiënten met CF wegens verlies van of de celoppervlakexpressie en/of de celwerking.

Er zijn meer dan 1900 mutaties in het CFTR-gen geïdentificeerd. Mutaties in het CFTR-gen zijn geclassificeerd op basis van de moleculaire en functionele gevolgen van de mutatie op het CFTR-eiwit en kunnen in het algemeen worden beschouwd als werkzaam voor het reduceren van de hoeveelheid functioneel CFTR-eiwit dat het epitheliaal celoppervlak bereikt of voor het reduceren van de werking van CFTR-eiwit op het celoppervlak. CFTR-genmutaties die de kwantiteit aantasten van functioneel CFTR-eiwit aan het celoppervlak inclusief defecten die CFTR-eiwitsynthese reduceren en defecten die de cellulaire verwerking en afgifte van CFTR-eiwit aan het celoppervlak verhinderen. VX-661 is een door

Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Vertex) ontwikkelde samenstelling die CTFR-corrigerende eigenschappen heeft aangetoond.

Doel van het onderzoek

Part A

De veiligheid en verdraagzaamheid op lange termijn evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor bij patiënten met CF, homozygoot of heterozygoot voor de F508del-CFTR-mutatie die in het behandelingscohort zitten.

Deel B en C:

Niet van toepassing.

Secundaire doelstellingen:

Deel A

Behandelingscohort

De werkzaamheid op lange termijn evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor voor proefpersonen in het behandelingscohort.

Observationeel cohort

De veiligheid na de behandeling evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor voor proefpersonen in het observatiecohort.

Deel B

De veiligheid op lange termijn, verdraagbaarheid en werkzaamheid evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor bij proefpersonen met CF, homozygoot of heterozygoot voor de F508del-CFTR-mutatie.

Deel C

De veiligheid op lange termijn en verdraagbaarheid evalueren van VX-661 in combinatie met ivacaftor bij proefpersonen met CF, homozygoot of heterozygoot voor de F508del-CFTR-mutatie.

Onderzoeksopzet

Behandelingscohort:

Onderzoeksdeelnemers die de behandeling met het onderzoeksmiddel hebben afgerond (i.e., VX-661/ivacaftor, ivacaftor-monotherapie, of placebo) tijdens behandelingsperiode in een hoofdonderzoek (onderzoeken 103 [placebogecontroleerde fase of open-label extensiefase], 106, 107, 108 of 109) of behandeling met onderzoeksmiddel en het veiligheidsvervolgbezoek voor onderzoeksdeelnemers van onderzoek 111 die voldoen aan de geschiktheidscriteria, zullen de kans geboden krijgen zich in te schrijven voor onderzoek 110. Onderzoeksdeelnemers die behandeling met onderzoeksmiddel definitief stopzetten of die hun toestemming introkken tijdens het hoofdonderzoek komen niet in aanmerking voor inschrijving in het

behandelingscohort.

Het behandelingscohort zal open-label zijn en alle onderzoeksdeelnemers zullen elke ochtend (qd) een tablet VX-661 100 mg/ ivacaftor 150-mg FDC krijgen en een tablet ivacaftor 150-mg 's avonds. De behandelingsperiode zal ongeveer 96 weken duren.

Als in de loop van het onderzoek de combinatie van VX-661 en ivacaftor wordt goedgekeurd en beschikbaar komt voor de behandeling van CF bij de groepen die ingeschreven zijn in onderzoek 110, kan het zijn dat deelname aan dit vervolgonderzoek wordt stopgezet voor de onderzoeksdeelnemers met de goedgekeurde CFTR-genotypes, als de sponsor daar zo over beslist. Als een onderzoeksdeelnemer doorgaat met commercieel beschikbare VX-661/ivacaftor, zal het vroegtijdige beëindigingsbezoek worden afgerond vóór dosering met het commerciële geneesmiddel begint en zal het veiligheidsvervolgbezoek niet vereist zijn. Anderzijds, als lokale gezondheidsautoriteiten weigeren goedkeuring te geven of als het klinisch voordeel niet wordt aangetoond voor het gebruik van VX-661 in combinatie met ivacaftor voor de behandeling van CF bij groepen die ingeschreven zijn in onderzoek 110, kan het zijn dat deelname van onderzoeksdeelnemers met de relevante CFTR-genotypes wordt stopgezet na communicatie met onderzoekers en IRB's/IEC's in verband met de risico's/voordelen betreffende veiligheid en werkzaamheid die werden waargenomen voor de subset van onderzoeksdeelnemers. Als deelname van onderzoeksdeelnemers wordt stopgezet, moet er een vroegtijdige beëindigingsonderzoek plaatsvinden binnen 7 dagen na de laatste dosis onderzoeksmiddel en moet er een veiligheidsvervolgonderzoek plaatsvinden binnen 28 ($\pm$ 7) dagen na de laatste dosis onderzoeksmiddel.

Observationeel cohort

Onderzoeksdeelnemers <18 jaar oud (leeftijd op de datum van geïnformeerde toestemming/instemming in het hoofdonderzoek) die ten minste 4 weken lang het onderzoeksmiddel kregen in het hoofdonderzoek, die niet geschikt zijn voor het behandelingscohort of die ervoor hebben gekozen zich niet in te schrijven voor het behandelingscohort en die voldoen aan de geschiktheidscriteria, zullen de kans krijgen zich in te schrijven voor het observationeel cohort.

Onderzoeksdeelnemers in het observationeel cohort zullen geen onderzoeksmiddel krijgen en zullen regelmatig geplande telefoongesprekken hebben gedurende ongeveer 2 jaar na hun laatste dosis onderzoeksmiddel in het hoofdonderzoek, om de post-behandelingsveiligheid van de combinatietherapie met VX-661/ivacaftor te beoordelen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Behandelingscohort: Bij het behandelingscohort zal het onderzoeksmiddel worden toegediend gedurende ongeveer 96 weken met een veiligheidsvervolgbezoek 28 dagen [$\pm$ 7 dagen] na de laatste dosis. Observationeel cohort: Bij het observationele cohort bedraagt deelname ongeveer 2 jaar.

Inschatting van belasting en risico

Cystic Fibrosis (CF) treft naar schatting 70.000 kinderen en volwassenen wereldwijd en is de vaakst voorkomende, dodelijke genetische ziekte bij personen van Europese afkomst. Op basis van de grootte van de populatie, wordt CF ingedeeld als een weesziekte. Ondanks vooruitgang in de behandeling van CF met antibiotica en mucolytica, is de voorspelde gemiddelde leeftijd van overleving voor een persoon met CF midden dertig. Hoewel de ziekte meerdere organen aantast, wordt de meeste morbiditeit en mortaliteit veroorzaakt door progressief verlies van de longfunctie.

Ivacaftor (ook bekend als VX-770) is de eerst CFTR-modulator die verbetering van de CFTR-functie en klinisch voordeel bij patiënten met CF heeft aangetoond. Resultaten van verscheidene fase 3-onderzoeken toonden aan dat ivacaftor doeltreffend is voor de behandeling van patiënten met CF die mutaties hebben, die resulteren in gating-defecten zoals aangetoond door duurzame verbeteringen in CFTR-kanaalfunctie (gemeten aan de hand van de reductie in zweetchlorideconcentratie) en overeenkomstige significante, duurzame verbeteringen in longfunctie, ademhalings symptomen en gewichtstoename. Ivacaftor werd ook goed verdragen, zoals bewezen door de aantallen van en redenen voor vroegtijdige stopzetting en de resultaten van veiligheidsbeoordelingen.

Vaak voorkomende bijwerkingen in onderzoeken bij CF-patiënten die VX-661, ivacaftor of VX-661 in combinatie met ivacaftor ontvingen zijn infectieuze longexacerbatie van CF (tijdelijke verslechtering van de longfunctie wegens een infectie of ontsteking), hoesten, hoofdpijn, misselijkheid, toename van sputum, vermoeidheid, infectie van de bovenste luchtwegen (verkoudheid), orofaryngeale pijn (keelpijn), nasale congestie (verstopte neus), nasofaryngitis (ontsteking van de neus en keelholte), buikpijn, diarree, uitslag, duizeligheid (zich zwak voelen).

Contactpersonen

Publiek

Vertex Pharmaceuticals

Northen Avenue 50
Boston MA 02210
US

Wetenschappelijk

Vertex Pharmaceuticals

Northen Avenue 50
Boston MA 02210
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Deel A

Onderzoeksdeelnemers die aan het behandelingscohort gaan deelnemen, moeten voldoen aan alle onderstaande criteria:

- * Ervoor kiezen zich in te schrijven voor het behandelingscohort.
- * Behandeling met onderzoeksmiddel afgerond hebben tijdens de behandelingsperiode in een hoofdonderzoek (onderzoeken 103, 106, 107, 108 of 109) of behandeling met onderzoeksmiddel en het veiligheidsvervolgbezoek voor deelnemers van onderzoek 111 of behandeling met onderzoeksmiddel en het veiligheidsvervolgbezoek zoals aangeduid in andere onderzoeken van Vertex die VX-661 in combinatie met ivacaftor onderzoeken.
- * Bereid zijn een stabiel schema te volgen van CF-medicatie (en supplement) tot na het veiligheidsvervolgbezoek.

Deelnemers die opnieuw met de behandelingscohort starten moeten voldoen aan de volgende criteria:

- * Hiervoor tenminste 4 weken behandeling hebben gekregen met onderzoeksmiddel voor ze stopte met onderzoek 110 om deel te nemen in een ander gekwalificeerd Vertex onderzoek
- * De laatst vereiste visite van een ander gekwalificeerd Vertex onderzoek voltooid voor of tijdens de terugkeervisite in deel A in onderzoek 110
- * Bereid zijn een stabiel schema te volgen van CF-medicatie (en supplement) tot na het veiligheidsvervolgbezoek van deel A.

- * Deelnemers die met het onderzoek 110 meer dan een keer ophouden om deel te nemen in een ander gekwalificeerd Vertex onderzoek, mogen niet opnieuw starten in deel A., Deelnemers die aan het deel A observationeel cohort gaan deelnemen, moeten voldoen aan de volgende criteria:
- * <18 jaar oud zijn (leeftijd op de datum van geïnformeerde toestemming/instemming in het hoofdonderzoek)
- * Behandeling met onderzoeksmiddel hebben afgerond tijdens de behandelingsperiode in een hoofdonderzoek (onderzoeken 103, 106, 107, 108 of 109) of behandeling met onderzoeksmiddel en het veiligheidsvervolgbezoek voor deelnemers van onderzoek 111 of behandeling met onderzoeksmiddel en het veiligheidsvervolgbezoek zoals aangeduid in andere onderzoeken van Vertex die VX-661 in combinatie met ivacaftor onderzoeken, maar ervoor kiezen om zich niet in te schrijven voor het behandelingscohort van onderzoek 110; of
- * Gedurende tenminste 4 weken behandeling hebben gekregen met onderzoeksmiddel in een hoofdonderzoek, maar niet voldoen aan geschiktheidscriteria voor inschrijving in het behandelingscohort.

Deel B:

- * Afgeronde behandeling met het onderzoeksmiddel tijdens de behandelingsperiode van deel A van VX14 661 110, de onderzoeken VX15 661 112 of VX16 661 114, of andere Vertex-onderzoeken die in aanmerking komen
- * Voor proefpersonen die halverwege een goedgekeurde onderbreking van het onderzoeksmiddel zijn aan het einde van het hoofdonderzoek of deel A, of die opnieuw gestart zijn met onderzoeksmiddel na een onderbreking <4 weken vóór het einde van het hoofdonderzoek of deel A, moet worden voldaan aan de criteria voor hervatting van het onderzoeksmiddel en moet veiligheidsmonitoring worden uitgevoerd na hervatting of rechallenge
- * Is bereid een stabiel schema te blijven volgen van CF-medicatie (en supplement) tot en met het bezoek in week 96.

Proefpersonen die weer gaan deelnemen aan deel B moeten voldoen aan alle onderstaande criteria

- * Heeft eerder ten minste 4 weken het onderzoeksmiddel ontvangen alvorens onderzoek VX14 661 110 te verlaten om te gaan deelnemen aan een ander gekwalificeerd Vertex-onderzoek
- * Heeft het laatste vereiste bezoek van een ander gekwalificeerd Vertex-onderzoek afgelegd vóór of tijdens het terugkeerbezoek in deel B
- * Is bereid een stabiel schema te blijven volgen van CF-medicatie (en supplement) tot en met het bezoek in week 96 van deel B.

Deel C:

Onderzoeksdeelnemers die aan alle volgende inclusiecriteria voldoen, komen in aanmerking voor deel C.

- * Ondertekende en dateerde een ICF, en indien van toepassing, ondertekende en dateerde een instemmingsformulier.
- * Heeft de toestemming van Deel B van Studie VX14-661-110 niet ingetrokken.
- * In staat om protocolvereisten, beperkingen en instructies te begrijpen en na te leven, en waarschijnlijk de studie te voltooien zoals gepland, zoals beoordeeld door de onderzoeker en Vertex, gedeeltelijk gebaseerd op de studieconformiteit in de ouderstudie en studie VX14-661-110 (Deel A en B).

- * Voltooide de behandeling met het onderzoeksmiddel tijdens de behandelingsperiode in deel B van VX14-661-110.
- * Voor proefpersonen in het midden van een goedgekeurde onderbreking van het onderzoeksmiddel aan het einde van deel B, of die opnieuw begonnen zijn met het onderzoeksmiddel na een onderbreking <4 weken voor het einde van deel B, moet aan de criteria voor hervatting van het onderzoeksmiddel worden voldaan en veiligheidscontrole na hervatting moet worden uitgevoerd.
- * Bereid om een **stabiel CF-medicijn (en supplement) te blijven gebruiken tot aan de 96 week visite van de VX14-661-110 studie deel C.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Deel A Alleen voor behandelingscohort:

- * Voorgeschiedenis van comorbiditeit die, naar het oordeel van de onderzoeker, de resultaten van het onderzoek zou kunnen beïnvloeden of die een bijkomend risico zou kunnen vormen bij het toedienen van het onderzoeksmiddel bij de onderzoeksdeelnemer.
- * Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven. Vrouwen die kinderen kunnen krijgen moeten een negatieve urinezwangerschapstest hebben tijdens het bezoek op dag 1 (en op de terugkeervisite voor deelnemers die opnieuw starten) en voor ze de eerste dosis van het onderzoeksmiddel krijgen.
- * Seksueel actieve deelnemers met voortplantingspotentieel die niet bereid zijn te voldoen aan de vereisten met betrekking tot anticonceptiva.
- * Voorgeschiedenis van geneesmiddelenintolerantie in het hoofdonderzoek of een ander gekwalificeerd onderzoek die een bijkomend risico met zich meebrengt voor de deelnemer.
- * Voorgeschiedenis van gebrekkige naleving wat betreft het onderzoeksmiddel en/of de procedures in het hoofdonderzoek of een ander gekwalificeerd onderzoek zoals geacht door de onderzoeker.
- * Deelname aan een ander experimenteel geneesmiddelenonderzoek dan onderzoeken 103, 106, 107, 108, 109 en 111, andere onderzoeken van Vertex die VX-661 in combinatie met ivacaftor bestuderen of een ander gekwalificeerd onderzoek of gebruik van een commercieel beschikbare CFTR-modulator (bijv. Kalydeco).
- * Eerder opnieuw gestart zijn in deel A met het behandelingscohort van onderzoek 110 na deelname aan andere gekwalificeerde Vertex-onderzoeken.

Deel B:

- * Voorgeschiedenis van comorbiditeit die, naar het oordeel van de onderzoeker, de resultaten van het onderzoek zou kunnen beïnvloeden of die een bijkomend risico zou kunnen vormen bij het toedienen van het onderzoeksmiddel bij de onderzoeksdeelnemer.
- * Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven.
- * Seksueel actieve deelnemers met voortplantingspotentieel die niet bereid zijn te voldoen aan de vereisten met betrekking tot anticonceptiva.
- * Proefpersonen die de behandeling met het onderzoeksmiddel definitief staken

tijdens het hoofdonderzoek of deel A

- * Voorgeschiedenis van intolerantie voor het onderzoeksmiddel in het hoofdonderzoek, deel A van onderzoek VX14- 661-110 of een ander gekwalificeerd Vertex-onderzoek, die naar mening van de onderzoeker of Vertex een extra risico zou vormen voor de proefpersoon
- * Voorgeschiedenis van slechte therapietrouw met betrekking tot het onderzoeksmiddel en/of procedures in het hoofdonderzoek, deel A van onderzoek VX14-661-110 of een ander gekwalificeerd Vertex-onderzoek, naar mening van de onderzoeker
- * Deelname aan onderzoek naar een experimenteel geneesmiddel (anders dan de onderzoeken VX13 661 103, VX14 661 106, VX14 661 107, VX14 661 108, VX14 661 109, VX14 661 111, VX15 661 112, VX16 661 114, deel A van onderzoek VX14-661-110 of andere in aanmerking komende Vertex-onderzoeken waarbij VX 661 in combinatie met ivacaftor wordt geëvalueerd) of het gebruik van een commercieel beschikbare CFTR-regulator (bijv. Kalydeco)
- * Is meermaals gestopt met onderzoek VX14 661 110 (deel A of deel B) om deel te nemen aan een ander gekwalificeerd Vertex-onderzoek.

Deel C

Onderzoeksdeelnemers die aan een van de volgende exclusiecriteria voldoen, zullen NIET in aanmerking komen voor deze studie.

- * Voorgeschiedenis van comorbiditeit die, naar het oordeel van de onderzoeker, de resultaten van het onderzoek zou kunnen beïnvloeden of die een bijkomend risico zou kunnen vormen bij het toedienen van het onderzoeksmiddel bij de onderzoeksdeelnemer.

Bijvoorbeeld:

- * Voorgeschiedenis van cirrose met portale hypertensie en / of geschiedenis van risico factoren voor Torsade de Pointes (bijvoorbeeld familiale lange QT-syndroom, hypokaliëmie, hartfalen, linkerventrikelhypertrofie, bradycardie, myocardinfarct, cardiomyopathie, voorgeschiedenis van hartritmestoornis [ventriculaire en atriumfibrillatie], obesitas, acute neurologische gebeurtenissen [subarachnoïdale bloeding, intracraniële bloeding, cerebrovasculair ongeval en intracraniëel trauma] en autonome neuropathie)
- * Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven. Vrouwen in de vruchtbare leeftijd moeten een negatieve urinezwangerschapstest hebben tijdens Dag 1 van deel C visite en voor ze de eerste dosis van het onderzoeksmiddel krijgen.
- * Seksueel actieve deelnemers met voortplantingspotentieel die niet bereid zijn te voldoen aan de vereisten met betrekking tot anticonceptiva.
- * Onderzoeksdeelnemers die permanent stoppen met de behandeling met het onderzoeksmiddel tijdens de ouderstudie of studie VX14-661-110 (deel A of deel B), inclusief op het laatste bezoek van de behandelingsperiode.
- * Voorgeschiedenis van geneesmiddelintolerantie in de ouderstudie of studie VX14-661-110 (Deel A of Deel B), dat een extra risico zou kunnen vormen voor de onderzoeksdeelnemer volgens de onderzoeker of Vertex. Voorbeelden van onderzoeksdeelnemers die niet in aanmerking komen voor deel C omvatten maar

zijn niet beperkt tot het volgende:

- * Onderzoeksdeelnemers met een voorgeschiedenis van allergie of overgevoeligheid voor het onderzoeksmiddel
- * Andere ernstige of levensbedreigende reacties op het onderzoeksmiddel in de ouderstudie of studie VX14-661-110 (deel A of deel B).
- * Voorgeschiedenis van slechte naleving van het onderzoeksmiddelen en / of procedures in de ouderonderzoek of onderzoek VX14-661-110 (deel A of deel B) zoals beoordeeld door de onderzoeker.
- * Deelname aan een geneesmiddelenonderzoek of gebruik een commercieel beschikbare CFTR-modulator (bijv. Kalydeco).

NOTE:

deelname aan een niet-interventionele onderzoek (inclusief observationele studies, registerstudies en studies waarbij bloedafname nodig is zonder toediening van een onderzoeksmiddel) en screening op andere gekwalificeerde Vertex studies zijn toegestaan.

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:	04-12-2015
Aantal proefpersonen:	54
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Kalydeco
Generieke naam:	Ivacaftor

Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Symkevi
Generieke naam:	Tezacaftor
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-09-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-11-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-05-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-07-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-10-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-01-2017
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-02-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-06-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-07-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-08-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-09-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-12-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-01-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	16-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-08-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-10-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-12-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-02-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-02-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-08-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-12-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen

	(Wijchen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-01-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	IRB Nijmegen: Independent Review Board Nijmegen (Wijchen)

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	EUCTR2014-004827-29-NL
CCMO	NL54556.072.15