

Een gerandomiseerd, dubbelblind fase IIb onderzoek met parallelgroepen, waaronder een placebo en een standaard geneesmiddel met dubbelblinde verlenging ter beoordeling van de werkzaamheid en veiligheid van Vamorolone bij ambulante jongens met spierdystrofie van Duchenne (DMD)

Gepubliceerd: 25-02-2019 Laatst bijgewerkt: 09-04-2024

Primaire doelstellingen: 1. Om de werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een placebo bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON50318

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

VBP15-004 - VISION DMD

Aandoening

- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne-spierdystrofie; spieraandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: ReveraGen BioPharma, Inc.

Overige ondersteuning: REVERAGEN en horizon2020

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ambulante jongens met de leeftijd van $\geq$ 4 tot < 7 jaar, Duchenne-spierdystrofie, Vamorolone

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Verdraagbaarheid:

1. Voortijdige stopzetting van de studiebehandeling vanwege bijwerkingen.

Werkzaamheid:

1. Tijd tot staande stand test (TTSTAND): verandering ten opzichte van baseline in week 24 bij proefpersonen die behandeld zijn met 6.0 mg/kg/dag vamorolone vs. proefpersonen die behandeld zijn met placebo.

Secundaire uitkomstmaten

Veiligheid:

1. BMI z-score: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling.
2. Treatment-emergent adverse events en ernstige bijwerkingen per orgaanklasse.
3. Vitale functies: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling.

4. Lichaamsgewicht en lengte: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling.
5. Cushingoid verschijnselen: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling.
6. Klinische labwaarden: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling in:
 - Hematologie en chemie
 - Lipiden
 - Vitamine D
 - Urine analyse
7. 12-lead ECG: verandering ten opzichte van baseline bij alle visites tijdens en na de studiebehandeling.
8. 2D-echocardiogram: verandering ten opzichte van baseline in week 24 en week 48.
9. DXA scan: verandering ten opzichte van baseline in week 24 en week 48 in BMD wervelkolom, totaal lichaams BMD, wervelkolom en totaal lichaamsbotgewicht, en totaal lichaamsamenstelling ((magere massa, vetmassa, vetvrije massa, Vetvrije massa-index en vetmassa-index).
10. Röntgen foto wervelkolom: verandering ten opzichte van baseline in week 24.
11. Oogonderzoek: verandering ten opzichte van baseline in week 24 en week 48.
12. ACTH stimulatie test: meting van bijnier onderdrukking in week 24 en week 48.
48. Percentage patiënten in elke behandelgroep met cortisol niveaus $<18 \text{ }^{\circ}\text{g/dL}$ (of 500 nM) 30 of 60 minuten na stimulatie met Cosyntropin.
13. Lineaire groeisnelheid: Verandering ten opzichte van baseline op elk van de

geplande tijdstippen tijdens-behandeling en na-behandeling in hoogtepercentiel voor leeftijd.

Werkzaamheid:

1. Verandering ten opzichte van baseline in week 24:

- TTSTAND snelheid, vamorolone 2.0 mg/kg/dag vs placebo
- 6 Minuten Loop Test (6MWT) meter gelopen, vamorolone 6.0 mg/kg/dag vs placebo
- 6 Minuten Loop Test (6MWT) meter gelopen, vamorolone 2.0 mg/kg/dag vs placebo
- Loop/rentijd (TTRW) snelheid over 10 meter, vamorolone 6.0 mg/kg/dag vs placebo
- Loop/rentijd (TTRW) snelheid over 10 meter, vamorolone 2.0 mg/kg/dag vs placebo
- 6 Meter looptest (6MWT) meter gelopen, vamorolone 6.0 mg/kg/dag vs placebo
- 6 Meter looptest (6MWT) meter gelopen, vamorolone 2.0 mg/kg/dag vs placebo

2. Verandering ten opzichte van baseline in week 48 in:

- TTSTAND snelheid
- TTCLIMB snelheid
- TTRW snelheid
- 6MWT meter gelopen
- NSAA
- Draagbare miometrie
- ROM

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit onderzoek is bedoeld erachter te komen of vamorolone werkzaam is (of het de spierkracht en -functie verbetert of stabiliseert) en of het minder bijwerkingen heeft dan corticosteroïden bij kinderen met DMD.

Jongens met spierdystrofie van Duchenne (DMD) ervaren een geleidelijk afnemende spierkracht wanneer zij opgroeien. Corticosteroïden zoals prednison (of prednisolon) en deflazacort zijn momenteel de enig beschikbare geneesmiddelen voor alle jongens met DMD waaruit gebleken is dat het het loopvermogen verlengt over een bepaalde tijdsperiode. Corticosteroïden hebben echter verscheidende bijwerkingen (ongewenste effecten van het geneesmiddel), zoals gewichtstoename, gedragsproblemen, verminderde groei, verhoogd risico op botbreuken. De ongewenste bijwerkingen zijn de belangrijkste reden waarom corticosteroïden niet altijd voorgeschreven worden of het gebruik ervan onderbroken wordt, ondanks dat gebleken is dat het een positief effect heeft op de spierfunctie en het de ontwikkeling vertraagt van bepaalde DMD-complicaties.

Doel van het onderzoek

Primaire doelstellingen:

1. Om de werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een placebo bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD; en
2. Om de veiligheid en verdraagbaarheid van dagelijks oraal toegediende doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg vamorolone bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD te beoordelen.

Secundaire doelstellingen:

1. Om de werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een placebo bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD;
2. Om de veiligheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een periode van 24 weken vs. een dagelijkse dosis prednison van 0.75 mg/kg bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD;
3. Om de werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een dagelijkse dosis prednison van 0.75 mg/kg bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD;

4. Om de werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 48 weken bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD vs. historische controlegegevens van onbehandelde DMD;
5. Om de veiligheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 48 weken bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD vs. historische controlegegevens van met prednison behandelde DMD;
6. Om de farmacokinetische populatie (FP) van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD te beoordelen.

Exploratieve doelstellingen:

1. Om de tevredenheid over de behandeling met dagelijks oraal toegediende doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg vamorolone tijdens een behandelingsperiode van 24 weken vs. een dagelijkse dosis 0.75 mg/kg prednison bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD te beoordelen;
2. Om de werkzaamheid van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een dagelijkse dosis prednison van 0.75 mg/kg op de levenskwaliteit en neuropsychologie te beoordelen;
3. Om het toedieningsgemak te beoordelen van de suspensie van het onderzoeksgeneesmiddel bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD;
4. Om de effecten voor de veiligheid en werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een placebo op mogelijk serum farmacodynamische (FD) biomarkers bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD; en
5. Om de effecten voor de veiligheid en werkzaamheid te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. een dagelijkse dosis van 0.75 mg/kg prednison op serum FD biomarkers bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD.
6. Om de effecten te vergelijken van dagelijks oraal toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg over een behandelingsperiode van 24 weken vs. de dagelijkse 0.75 mg/kg prednison op mogelijk serum FD biomarkers bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD;
7. Om te bepalen of kandidaat-genetische modificatoren van DMD (genpolymorfismen geassocieerd met de ernst van de ziekte of de reactie op behandeling met glucocorticoïden) vergelijkbaar geassocieerd zijn met vamorolone behandelde DMD- patiënten (ernst van de ziekte bij baseline, of reactie op behandeling met vamorolone of prednison).

Onderzoeksopzet

Dit fase IIb onderzoek is een gerandomiseerd, dubbelblind onderzoek met

parallelgroepen en placebo- en referentiegeneesmiddelen om de werkzaamheid, veiligheid, farmacodynamische en farmacokinetische populatie te beoordelen van dagelijks toegediende vamorolone in doses van 2.0 mg/kg en 6.0 mg/kg versus 0.75 mg/kg/dag prednison en een placebo gedurende een behandelingsperiode van 24 weken en om de duur van het effect over een behandelingsperiode van 48 weken te beoordelen bij ambulante jongens in de leeftijd van 4 tot <7 jaar met DMD.

Het onderzoek bestaat uit een screeningperiode voorafgaand aan de behandeling van 5 weken, een aanvangsperiode voorafgaand aan de behandeling van 1 dag, een behandelingsperiode #1 (weken 1-24), een overgangsperiode van 4 weken (weken 25-28), een behandelingsperiode #2 van 20 weken (weken 28 + 1 dag tot 48) en een dosisafbouwperiode van 4 weken (weken 49-52).

De proefpersonen worden willekeurig ingedeeld in zes behandelgroepen in een verhouding van 2:2:1:1:1:1, waarbij de twee prednisongroepen in de behandelingsperiode #1 (Groepen 3 en 4) gecombineerd worden en de twee placebogroepen in de behandelperiode #1 (Groepen 5 en 6) gecombineerd worden, wat resulteert in een 1:1:1:1 randomisatie (vamorolone 2.0 mg/kg/dag: vamorolone 6.0 mg/kg/dag: prednison 0.75 mg/kg/day: placebo) voor behandelperiode #1. Randomisatieschema van het onderzoek, zie Tabel 6 in het protocol.

De proefpersonen worden gestratificeerd op basis van leeftijd aan het begin van het onderzoek (<6 vs. ≥6 jaar). Tijdens de overgangsperiode van 4 weken tussen behandelperiode #1 en behandelperiode #2 blijven alle proefpersonen dezelfde orale suspensie innemen

(vamorolone 2.0 mg/kg of 6.0 mg/kg, of overeenkomstig placebo) die zij kregen tijdens behandelperiode #1 en bij alle proefpersonen wordt de dosis in tabletvorm afgebouwd tot nul. Aldus blijven de gerandomiseerde proefpersonen die vamorolone gebruiken tijdens behandelperiode #1 (Groepen 1 en 2) vamorolone gebruiken in dezelfde dosis, terwijl bij de gerandomiseerde proefpersonen die prednison krijgen de dosis afgebouwd wordt naar nul en gaan de proefpersonen die ingedeeld werden in de placebogroep door met het gebruik van een placebo.

Na afloop van behandelperiode #2 krijgen de proefpersonen de keuze om mee te doen aan een uitgebreid onderzoek over een langere termijn of om over te gaan op een standaard behandeling voor DMD (waaronder met glucocorticoiden).

Onderzoeksproduct en/of interventie

Elke proefpersoon krijgt gedurende 24 weken dagelijks vamorolone (onderzoeksgeneesmiddel), prednisone (actieve controle) of een placebo in een gerandomiseerde, dubbelblinde opzet zie Tabel 6 in het protocol. Na de eerste behandelperiode van 24 weken en een overgangsperiode van 4 weken volgt er een tweede behandelperiode waarin alle proefpersonen dagelijks 2.0 mg/kg of 6.0 mg/kg vamorolone innemen. Na afloop van de tweede behandelperiode krijgen proefpersonen de keuze om mee te doen aan uitgebreid onderzoek over een langere termijn of om over te gaan op een

standaardbehandeling voor DMD,

Inschatting van belasting en risico

Risico's van vamorolone of prednison: adrenale suppressie, verhoogd gehalte leverenzymen

Risico's van prednison: gewichtstoename, gelaatsveranderingen (opgeblazen uiterlijk), trage groei, verhoogd risico op botbreuken, gedragsveranderingen, verhoogde bloeddruk, maagstoornissen, vorming van staar of verhoogde oogdruk (glaucoma), verzwakt immuunsysteem (waardoor men makkelijker infectieziekten kan oplopen), er kunnen veranderingen optreden in de huid, zoals overmatige haargroei, dunner huid en snellere kneuzingen.

Risico's van bloedafname: pijn of kneuzingen ontstaan op de plaats waar de naald in de huid geprikt wordt.

Risico van elektrocardiografie: deze test kan in uitzonderlijke gevallen irritatie veroorzaken van de huid waarop de elektroden aangebracht worden.

Risico van DEXA-scan en röntgenfoto van de wervelkolom: blootstelling aan een geringe hoeveelheid straling.

Risico's voor de spierkracht en van de tijdfunctietests: vermoeidheid, spierpijn

Risico's van de ACTH stimulatie test: een lichte blauwe plek op de plaats waar de naald in de huid geprikt wordt, een licht risico op het ontstaan van symptomen van bijnierinsufficiëntie.

Contactpersonen

Publiek

ReveraGen BioPharma, Inc.

155 Gibbs St. Suite 433 St. Suite 433
Rockville MD 20850
US

Wetenschappelijk

ReveraGen BioPharma, Inc.

155 Gibbs St. Suite 433 St. Suite 433

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Voorafgaand aan welke onderzoeksgerelateerde procedure ook verstrekken de ouder(s) of wettelijke voogd(en) van de proefpersonen een schriftelijke geïnformeerde toestemming en indien van toepassing een toestemming volgens de Health Insurance Portability and Accountability Act (HIPAA); de deelnemers worden verzocht een schriftelijke of mondelinge instemming te geven volgens de lokale voorschriften.
2. De proefpersonen hebben een centraal (door TRiNDS centrale genetische adviseur[s]) bevestigde diagnose van DMD dat gedefinieerd is als:
 - * Dystrofine immunofluorescentie en/of immunoblot waaruit een complete dystrofinedeficiëntie blijkt, en een klinisch beeld dat overeenstemt met typische DMD, OF
 - * Identificeerbare mutatie binnen het DMD-gen (deletie/duplicatie van een of meer exonen), waarbij het uitlezen van het frame voorspeld kan worden als 'out-of-frame' en met een klinisch beeld dat overeenstemt met typische DMD, OF
 - * Complete dystrofine gensequentie met een verandering (puntmutatie, duplicatie of anderszins) waarvan verwacht wordt dat het de aanmaak uitsluit van dystrofine-eiwit (dat wil zeggen nonsense-mutatie, deletie/duplicatie die leidt tot een downstream stopcodon) met een klinisch beeld dat overeenstemt met typische DMD;
3. De proefpersoon is * 4 jaar en <7 jaar oud op het moment van instromen in het onderzoek;
4. Het gewicht van de proefpersoon bedraagt >13.0 kg en * 39.9 kg op het moment van het screeningbezoek;
5. De proefpersoon kan autonoom lopen zonder hulpmiddelen;
6. De proefpersoon kan de tijdfunctietest om op te staan (TTSTAND) zonder hulp

- volbrengen binnen <10 seconden, zoals bepaald tijdens het screeningbezoek;
7. De resultaten van de klinische laboratoriumtesten liggen binnen de normale waarden op het moment van het screeningbezoek, of, wanneer abnormaal, zijn niet klinisch significant naar de mening van de onderzoeker. [Opmerkingen: Serum gamma-glutamyltransferase (GGT), creatinine, en totaal bilirubine moeten allemaal * dan de bovengrens van het normale bereik zijn op het moment van het screeningbezoek];
8. Er is bewijs van immuniteit tegen waterpokken bij de proefpersoon, zoals bepaald door:
- aanwezigheid van IgG antilichamen tegen varicella, zoals gedocumenteerd door een positief testresultaat van het lokale laboratorium op basis van bloed afgenomen tijdens het screeningbezoek, OF
 - aanwezigheid van documentatie ten tijde van het screeningsbezoek dat de proefpersoon twee doses van het varicella vaccin heeft ontvangen, met of zonder serologisch bewijs van immuniteit; de tweede van de 2 vaccinaties moet ten minste 14 dagen voorafgaand aan randomisatie zijn gegeven.
9. De proefpersoon is in staat tabletten te slikken, zoals bevestigd door een succesvolle slikproef van placebotabletten tijdens de screeningperiode; en
10. De proefpersoon en ouder(s)/voogd(en) zijn bereid en in staat om gevolg te geven aan de geplande bezoeken, het toedieningsplan van het onderzoeksmiddel en de onderzoeksprocedures.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De proefpersoon heeft momenteel of had in het verleden ernstige renale of hepatische stoornis, diabetes mellitus of immunosuppressie;
2. De proefpersoon heeft momenteel of had in het verleden chronisch systematische schimmel- of virusinfecties;
3. De proefpersoon heeft binnen 4 weken voor de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn een acute ziekte gehad;
4. De proefpersoon heeft mineralocorticoïde receptoren gebruikt zoals spironolactone, eplerenone, canrenone (kaliumcanrenoot), prorenone (kaliumprorenoot), mexrenone (kaliummexrenoot) binnen 4 weken voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn;
5. De proefpersoon heeft in het verleden primaire hyperaldosteronisme gehad;
6. De proefpersoon geeft blijk van symptomatische cardiomyopathie [Opmerking: Asymptomatische hartafwijkingen tijdens het onderzoek vormen geen uitsluitingsgrond];
7. De proefpersoon wordt momenteel behandeld of heeft eerder behandeling ondergaan met orale glucocorticoïden of andere immunosuppressieve werkzame stoffen [Opmerkingen: Tijdelijk gebruik van orale of geïnhaleerde glucocorticoïden of andere orale immunosuppressieve stoffen voor andere indicaties dan DMD gedurende niet langer dan 1 maand cumulatief voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn, met het laatste gebruik minder ten

minste 3 maanden geleden, wordt voor de beoordeling van de geschiktheid per geval onderzocht. Geïnhaleerde en/of uitwendig gebruik van glucocorticoiden, voorgeschreven voor andere indicaties dan DMD, zijn toegestaan als het laatste gebruik plaatsvond minstens 4 weken voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn of toegediend werd in een stabiele dosis vanaf minstens 4 weken voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn, en waarvan verwacht wordt dat zij in stabiele doses gebruikt dienen te worden tijdens de duur van het onderzoek];

8. De proefpersoon heeft een allergie of overgevoeligheid voor het onderzoeksmedicijn of een van de samenstellende stoffen daarvan;

9. De proefpersoon heeft binnen 4 weken voor de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn idebenone gebruikt;

10. De proefpersoon heeft ernstige gedrags- of cognitieve problemen die deelname aan het onderzoek uitsluit naar de mening van de onderzoeker;

11. De proefpersoon had in het verleden of heeft op dit moment een medische aandoening, een medische geschiedenis, lichamelijke bevindingen of abnormale laboratoriumresultaten die van invloed kunnen zijn op de veiligheid, die het onwaarschijnlijk maken dat de behandeling en follow-up correct voltooid kunnen worden of die de beoordeling van de onderzoeksresultaten kunnen schaden naar het oordeel van de onderzoeker;

12. De proefpersoon gebruikt kruidenremedies en supplementen (of heeft deze binnen 4 weken voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn gebruikt) die van invloed kunnen zijn op de spierkracht en -functie (bijvoorbeeld Co-enzym Q10, creatine, prostaglandine, enz.);

13. De proefpersoon gebruikt medicatie voor DMD (of heeft hiervoor binnen 3 maanden voor de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn medicatie gebruikt) inclusief Exondys51 en Translarna;

14. De proefpersoon heeft een levend vaccin toegediend gekregen binnen de 14 dagen voorafgaand aan de eerste dosis van het onderzoeksmiddel;

15. De proefpersoon gebruikt momenteel andere onderzoeksgeneesmiddelen of heeft andere onderzoeksgeneesmiddelen binnen 3 maanden voor de eerste dosis van het onderzoeksmedicijn gebruikt;

16. De proefpersoon heeft een broer of zus die op dit moment in een onderzoek met vamorolone of een programma voor langdurig gebruik ervan is opgenomen, of die van plan is hierin opgenomen te worden gedurende de deelname van de proefpersoon in het VBP15-004 onderzoek; of

17. De proefpersoon is al eerder in het onderzoek opgenomen.

Opmerking: Elke parameter/test mag tijdens Screening worden herhaald naar keuze van de onderzoeker om reproduceerbaarheid te bepalen. Daarnaast mogen proefpersonen herscreening ondergaan wanneer zij worden uitgesloten op basis van een tijdelijke conditie die deelname verhindert, zoals een infectie van of schade aan de bovenste luchtwegen, of op basis van een negatief testresultaat voor varicella IgG antilichamen.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	09-12-2019
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Prednison
Generieke naam:	Corticosteroïde
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Vamorolone
Generieke naam:	Vamorolone

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-02-2019
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	10-10-2019
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-10-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-03-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-06-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-06-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-08-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-10-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-11-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-03-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	29-07-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-08-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

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	EUCTR2017-002704-27-NL
ClinicalTrials.gov	NCT03439670
CCMO	NL65653.058.19

Resultaten

Einddatum onderzoek:	22-04-2021
Totaal aantal deelnemers:	7

Samenvatting resultaten

Trial is ongoing in other countries