

Onderzoek naar het natuurlijk beloop van de progressie van X-gebonden retinitis pigmentosa (XLRP)

Gepubliceerd: 22-05-2018 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Het doel van het onderzoek is beter inzicht te krijgen in de progressie van mannelijke patiënten met X-linked retinitis pigmentosa (XLRP)

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Netvlies-, vaatvlies- en glasvochtbloedingen en vaataandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON50458

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

XOLARIS-onderzoek

Aandoening

- Netvlies-, vaatvlies- en glasvochtbloedingen en vaataandoeningen

Synoniemen aandoening

nachtblindheid, tunnelvisie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: NightstaRx Ltd.

Overige ondersteuning: Biotech Company

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: afbraak van cellen in het netvlies, nachtblindheid, natuurlijk beloop, X-gebonden retinitis pigmentosa

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire eindpunten van het onderzoek zijn:

1) de verandering gemeten gedurende de tijd vanaf Baseline in de Early

Treatment Diabetic Retinopathy Study (ETDRS) best-corrected visual acuity (BCVA).

2) de verandering ten opzichte van de Baseline in retinale gevoeligheid beoordeeld met microperimetrie in de tijd.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire eindpunten zijn de verandering ten opzichte van de Baseline in andere functionele en anatomische metingen over tijd.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Blindheid waarmee elke ziekte met afwijking aan het netvlies is geassocieerd zorgt voor een ernstige handicap en relevante morbiditeit met economische, psychologische, emotionele en sociale gevolgen. XLRP is ongeneeselijk en behandeling is op zijn best ondersteunend. Er zijn op dit moment geen behandelingen op de markt om de progressie van XLRP aan te pakken. Er is een significante medisch noodzaak om nieuwe en effectieve behandelingen te vinden voor deze ziekte die zorgt voor blindheid.

Zeldzame ziekten zoals XLRP zijn vaak slecht in kaart gebracht door gebrek aan beschikbare data van de kleine patienten populatie. De ontwikkeling van medicatie gericht op behandeling van XLRP wordt geremd door gebrek aan kennis van het natuurlijke beloop van de ziekte. Het doel van dit onderzoek is beter inzicht te krijgen in de progressie van XLRP en de kennisbasis voor deze

zeldzame ziekte uit te breiden.

Doel van het onderzoek

Het doel van het onderzoek is beter inzicht te krijgen in de progressie van mannelijke patiënten met X-linked retinitis pigmentosa (XLRP)

Onderzoeksopzet

Dit is een multicenter, prospectief, observationeel onderzoek bestaande uit 7 bezoeken in 24 maanden tijd:

Bezoek 1 (Screening/Baseline Bezoekit);

Bezoek 2 (Maand 3);

Bezoek 3 (Maand 6);

Bezoek 4 (Maand 9);

Bezoek 5 (Maand 12);

Bezoek 6 (Maand 18) and

Bezoek 7 (Maand 24/Einde onderzoek of Vervroegde Afrondingsbezoek [zo nodig]).

Als een patient eerder stopt met het onderzoek, zal iedere poging ondernomen moeten worden om de handelingen in te plannen voor het Vervroegde Afrondingsbezoek.

Het onderzoek zal 2 BCVA subgroepen insluiten, met minstens 120 deelnemers in subgroup 2:

- subgroup 1: ETDRS BCVA $\geq$ 74 letters (vergelijkbaar met: Snellen 6/9 or 20/32; decimal 0.63; LogMar 0.2)

- subgroup 2: ETDRS BCVA 34-73 letters, inclusief (vergelijkbaar met: Snellen 6/12 - 6/60 or 20/40 - 20/200; decimaal 0.5 - 0.1; LogMar 0.3-1.0)

het insluiten in het onderzoek wordt actief gevolgd, en insluiten in de verschillende subgroepen zal gestopt worden wanneer de beoogde steekproefgrootte is bereikt.

Inschatting van belasting en risico

Dit is een observationeel onderzoek. Aangezien er geen onderzoeksmiddel wordt toegediend, zijn er geen risico's of voorzorgsmaatregelen gerelateerd aan toediening van een onderzoeksmiddel te melden. De enige mogelijke risico's voor deelnemers zijn minimaal en beperkt tot de risico's behorend bij de uitvoering van de onderzoeksprocedures welke onderdeel zijn van de reguliere onderzoeken bij behandeling van de oog-aandoening.

Blindheid waarmee X-Linked Retinitis Pigmentosa (XLRP) is geassocieerd zorgt voor een ernstige handicap en relevante morbiditeit met economische, psychologische, emotionele en sociale gevolgen. XLRP is ongeneeselijk en behandeling is op zijn best ondersteunend. Er is een significante medisch noodzaak om nieuwe en effectieve behandelingen te vinden voor deze ziekte die

zorgt voor blindheid.

Contactpersonen

Publiek

NightstaRx Ltd.

Midford Place, 2nd Floor 10
London W1T 5BJ
GB

Wetenschappelijk

NightstaRx Ltd.

Midford Place, 2nd Floor 10
London W1T 5BJ
GB

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)

a. De proefpersoon/wettelijke voogd (indien van toepassing) is bereid en in

staat om geïnformeerde toestemming en goedkeuring van/namens de proefpersoon voor deelname aan het onderzoek te verlenen.

b. De proefpersoon is van het mannelijke geslacht en is ≥ 7 jaar oud.

c. Bij de proefpersoon is een pathogene mutatie in het retinitis pigmentosa GTPase regulator (RPGR) gen gedocumenteerd.

d. De proefpersoon is bereid en in staat om oftalmologische onderzoeken te ondergaan, zoals vereist in het protocol, gedurende maximaal 24 maanden.

e. De proefpersoon heeft in ten minste 1 oog een BCVA die als volgt is gedefinieerd:

- BCVA volgens ETDRS ≥ 74 letters

(equivalent aan: snellen 6/9 of 20/32; decimaal 0,63; LogMAR 0,2)

- BCVA volgens ETDRS 34 t/m 73 letters

(equivalent aan: snellen 6/12 6/60 of 20/40 20/200; decimaal 0,5 - 0,1; LogMAR 0,3 - 1,0)

De geschiktheid op basis van BCVA wordt ingedeeld in deze 2 subgroepen, met minimaal 120 ogen in de tweede subgroep (34 73 letters).

f. De proefpersoon heeft in ten minste 1 oog een gemiddelde totale retinale gevoeligheid van $\geq 0,1$ decibel (dB) en ≤ 20 dB, beoordeeld met behulp van microperimetrie*

*Proefpersonen die geïnccludeerd zijn onder de vorige versie van het protocol komen nog steeds in aanmerking voor voortzetting van hun deelname aan dit onderzoek, ongeacht hun totale retinale gevoeligheid in het onderzoeksoog in de uitgangssituatie.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

a. Een voorgeschiedenis van amblyopie in het oog dat in aanmerking komt voor het onderzoek.

b. Een andere significante oculaire of niet-oculaire ziekte/aandoening die, naar mening van de onderzoeker, een risico kan inhouden voor de proefpersoon als gevolg van deelname aan het onderzoek, de resultaten van het onderzoek kan beïnvloeden, het vermogen van de proefpersoon kan beïnvloeden om diagnostische tests uit te voeren in het kader van het onderzoek, of het vermogen van de proefpersoon kan beïnvloeden om aan het onderzoek deel te nemen. Hiertoe behoren ook klinisch significante vormen van cataract.

c. Deelname aan een ander wetenschappelijk onderzoek met een onderzoeksgeneesmiddel in de afgelopen 12 weken of ontvangst van een gen-/celtherapie op enig moment in het verleden (waaronder, maar niet beperkt tot implantatie van een intelligent implantaatsysteem, behandeling met ciliaire neurotrofische factoren, behandeling met zenuwgroeifactoren).

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 10-09-2018

Aantal proefpersonen: 30

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 22-05-2018

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 29-05-2018

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-02-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 16-09-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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
CCMO	NL63568.091.17