

Een multicentrisch, open-label extensie-onderzoek ter evaluatie van de veiligheid en werkzaamheid van patisiran op de lange termijn bij patiënten met familiale amyloïd polyneuropathie die een eerder klinisch onderzoek met patisiran hebben voltooid.

Gepubliceerd: 14-03-2016 Laatste bijgewerkt: 31-12-2024

Het beoordelen van de veiligheid en werkzaamheid van langdurige behandeling met patisiran bij transthyretine-gemedieerde amyloïdose (ATTR)-patiënten met familiale amyloïd polyneuropathie (FAP).

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Neurologische aandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON50597

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

TTR206

Aandoening

- Neurologische aandoeningen, congenitaal
- Neurologische aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

Familiaire ATTR, FAP (familiaire amyloïde polyneuropathy)

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Alnylam Pharmaceuticals
Overige ondersteuning: Alnylam Pharmaceuticals

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ALN-TTR02, Familiaire amyloïde polyneuropathie, patisiran, Therapeutisch RNAi

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het beoordelen van de veiligheid en werkzaamheid van langdurige behandeling met patisiran bij transthyretinegemedieerde amyloïdose (ATTR)-patiënten met familiale amyloïd polyneuropathie (FAP).

Secundaire uitkomstmaten

Geen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit is een multicenter, extensie-studie ter beoordeling van de veiligheid en werkzaamheid van patisiran op de lange termijn bij patiënten met FAP die een eerder klinisch onderzoek met patisiran hebben voltooid.

Doel van het onderzoek

Het beoordelen van de veiligheid en werkzaamheid van langdurige behandeling met patisiran bij transthyretinegemedieerde amyloïdose (ATTR)-patiënten met familiale amyloïd polyneuropathie (FAP).

Onderzoeksopzet

Dit is een multicentrisch, multinational, open-label extensie-onderzoek ter evaluatie van de veiligheid en werkzaamheid van patisiran op de lange termijn

bij patiënten met FAP die eerder een onderzoek met patisiran voltooid hebben.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patiënten zullen 0.3mg/kg patisiran krijgen, eenmaal in de 21 dagen, toegediend als een IV infusie gedurende 80 minuten (ongeveer 1 ml/min voor de eerste 15 minuten gevolgd door ongeveer 3 ml/min voor de rest van de infusie) door een gecontroleerd infusie-apparaat.

Inschatting van belasting en risico

Patiënten in de studie brengen vaker bezoek aan het ziekenhuis dan wanneer zij de standaardbehandeling zouden krijgen. Deelname aan de studie duurt ongeveer 5 jaar. Effectiviteits- en veiligheidstesten zullen worden gedaan. Visites omvatten de toediening van studiemedicatie en uitvoering van standaard veiligheidsmetingen.

Contactpersonen

Publiek

Alnylam Pharmaceuticals

300 Third Street
Cambridge MA 02142
US

Wetenschappelijk

Alnylam Pharmaceuticals

300 Third Street
Cambridge MA 02142
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)

1. Mannen en vrouwen van 18 t/m 85 jaar oud
2. Heeft een FAP diagnose en gedocumenteerde TTR mutatie
3. Heeft vorige onderzoek met patisiran voltooid
4. Heeft een adequaat lever- en nierfunctie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven
2. Heeft actieve infectie dat systemische antivirale of antimicrobiële therapie vereist
3. Heeft slecht gecontroleerde diabetes mellitus
4. Heeft ongecontroleerde klinisch significante hartritmestoornissen of instabiele angina pectoris

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd

(Verwachte) startdatum: 12-01-2017
Aantal proefpersonen: 3
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 14-03-2016
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO
Datum: 17-11-2016
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO
Datum: 20-12-2016
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO
Datum: 16-01-2017
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO
Datum: 01-03-2017
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO
Datum: 23-05-2017
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum:	20-07-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-08-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-03-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-06-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-07-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-05-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 07-06-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 08-10-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-11-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 13-03-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 16-07-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 27-07-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 23-10-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-11-2020

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

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	EUCTR2014-003877-40-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01960348
CCMO	NL56671.000.16

Resultaten

Einddatum onderzoek:	23-11-2022
Datum resultaten gemeld:	21-09-2023
Totaal aantal deelnemers:	2

Datum eerste publicatie onderzoek
27-06-2023