

Een fase 1, gerandomiseerd, open-label, cross-over onderzoek om de relatieve orale biologische beschikbaarheid van 2 formuleringen van PTC857 te evalueren bij toediening als een enkele dosis aan gezonde proefpersonen

Gepubliceerd: 31-05-2021 Laatste bijgewerkt: 05-04-2024

In dit onderzoek vergelijken we een nieuwe PTC857 bereiding met de huidige PTC857 bereiding. Het doel van de nieuwe bereiding is om de productie makkelijker te maken en het effect van voedsel op de opname van PTC857 te verkleinen. Ons doel is om te...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Neurologische aandoeningen NEG
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON50852

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Cross-over studie biologische beschikbaarheid van 2 formuleringen PTC857

Aandoening

- Neurologische aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

Ziekte van Parkinson

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: PTC Therapeutics, Inc.

Overige ondersteuning: Pharmaceutical Industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Biologische beschikbaarheid, Cross-over, PTC857

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het primaire doel van het onderzoek is het beoordelen van de relatieve biologische beschikbaarheid van PTC857 na een eenmalige orale toediening van de nieuwe (fase 2) formulering in vergelijking met de huidige (fase 1) formulering.

Secundaire uitkomstmaten

Het secundaire doel van de studie is het beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van PTC857 na toediening van enkelvoudige doses van de nieuwe en huidige formuleringen onder gevoede (matig vet) omstandigheden bij gezonde volwassen proefpersonen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

PTC857 is een nieuw middel dat wordt onderzocht voor de behandeling van neurologische aandoeningen, zoals de ziekte van Parkinson. De ziekte van Parkinson is een hersenaandoening met symptomen zoals trillen van armen of benen en/of stijfheid en moeite met lopen, evenwicht en coördinatie. Het wordt veroorzaakt door de dood van specifieke zenuwcellen in de hersenen die belangrijk zijn voor het beheersen van bewegingen. De ziekte van Parkinson kan momenteel niet genezen worden en de behandeling is erop gericht de symptomen te verminderen. Bij de ziekte van Parkinson is er een overproductie van zeer reactieve verbindingen die celstructuren kunnen beschadigen, wat op zijn beurt

kan leiden tot ontstekingen in de hersenen. PTC857 heeft tot doel de overproductie van de zeer reactieve verbindingen te verminderen door een specifiek eiwit (15-lipoxygenase) te remmen.

PTC857 is al eerder bij mensen getest. Ook is het uitgebreid in het laboratorium getest en op dieren.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek vergelijken we een nieuwe PTC857 bereiding met de huidige PTC857 bereiding. Het doel van de nieuwe bereiding is om de productie makkelijker te maken en het effect van voedsel op de opname van PTC857 te verkleinen.

Ons doel is om te onderzoeken hoe snel en in hoeverre beide PTC857 bereidingen in het lichaam worden opgenomen, getransporteerd, en uitgescheiden. Ons andere doel is om te onderzoeken hoe veilig beide PTC857 bereidingen zijn en hoe goed ze worden verdragen door gezonde deelnemers.

Onderzoeksopzet

Voor het onderzoek is het nodig dat deelnemers 1 periode van 12 dagen (11 nachten) in het onderzoekscentrum verblijven. Daarnaast bellen we de deelnemer ongeveer 27 dagen na vertrek uit het onderzoekscentrum.

Dag 1 is de eerste dag waarop men het onderzoeksmiddel krijgt. Men verlaat het onderzoekscentrum op Dag 11 van het onderzoek.

Hieronder staat een overzicht van de dagen waarop men in het onderzoekscentrum verblijft of waarop men een bezoek brengt aan het onderzoekscentrum.

Keuring > Dag -21 tot Dag -2

Behandelperiode - Binnenkomst > Dag -1

Behandelperiode - Verblijfsperiode > Dag -1 tot Dag 11

Behandelperiode - Vertrek > Dag 11

Telefonische nacontrole > Dag 38

U krijgt PTC857 als capsules via de mond met 240 milliliter (ml) water.

PTC857 wordt gegeven nadat men een medium-vet ontbijt met een standaard samenstelling heeft gegeten. Dit ontbijt moet precies op tijd worden begonnen en moet binnen 25 minuten opgegeten zijn. Het hele ontbijt moet opgegeten worden. Men moet de nacht voor dit ontbijt minimaal 10 uur vasten.

Nadat men het onderzoeksmiddel heeft ingenomen zal een van de onderzoekers de handen en mond inspecteren. Dit is om te bevestigen dat men het onderzoeksmiddel heeft ingenomen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

De deelnemer krijgt PTC857 tweemaal: de nieuwe bereiding eenmaal en de huidige bereiding eenmaal. De volgorde waarin men de bereidingen krijgt zal door loting worden bepaald. De eerste dosis wordt gegeven op Dag 1 en de tweede op Dag 8. Elke keer krijgt men een dosis van 150 mg PTC857. Elke capsule bevat 50 mg PTC857, wat betekent dat men voor elke dosering 3 capsules moet innemen. Elke capsule is >maat 0>, met een lengte van 21,7 mm en een diameter van 7,6 mm.

Inschatting van belasting en risico

Bloedafname

Bloedafnames kunnen pijn doen of een bloeditstorting geven. Het gebruik van een verblijfscanule kan soms leiden tot ontsteking, zwelling, verharding van de ader, of bloedstolling en bloeding (blauwe plekken) rondom de prikplaats. Bij sommige personen kan een bloedafname soms bleekheid, misselijkheid, zweten, lage hartslag, of bloeddrukdaling met duizeligheid of flauwvallen veroorzaken.

Alles bij elkaar nemen we ongeveer 140 milliliter (ml) bloed af. Deze hoeveelheid geeft bij volwassenen geen problemen. Ter vergelijking: bij de bloedbank wordt 500 ml bloed per keer afgenomen. Als de onderzoeker dit nodig vindt om de veiligheid van de deelnemer te kunnen waarborgen, kunnen extra monsters worden genomen voor eventueel aanvullende testen. Als dit gebeurt zal de totale hoeveelheid afgenomen bloed meer zijn dan de hierboven aangegeven hoeveelheid. De hoeveelheid zal niet groter zijn dan 150 mL voor deze studie.

Hartfilmpje

Voor het maken van een hartfilmpje worden elektroden op armen, borst en benen geplaatst. Langdurige toepassing van deze elektroden kan huidirritatie (huiduitslag en jeuk) veroorzaken.

Maaltijden/Vasten

Het medium-vet ontbijt is een studie specifiek ontbijt. Men moet dit ontbijt helemaal op eten binnen 25 minuten. Met name voor kleine eters kan het moeite kosten om dit ontbijt volledig op te eten.

Als men langdurig moet vasten tijdens het onderzoek, kan dit leiden tot klachten zoals duizeligheid, hoofdpijn, maagklachten of flauwvallen.

Coronavirus test

Monsters voor de coronavirus test zullen met wattenstaafjes achter in de neus en keel worden afgenomen. Het afnemen van de monsters duurt slechts enkele seconden, maar kan ongemak veroorzaken en een onaangenaam gevoel geven. Het afnemen van een monster achter in de keel kan er toe leiden dat men moet kokhalzen. Wanneer het monster achter in de neus wordt afgenomen kan men een prikkelend gevoel ervaren en kunnen de ogen gaan tranen.

Contactpersonen

Publiek

PTC Therapeutics, Inc.

100 Corporate Court
South Plainfield NJ 07080
US

Wetenschappelijk

PTC Therapeutics, Inc.

100 Corporate Court
South Plainfield NJ 07080
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 of vrouwen tussen 18 en 55 jaar oud met een body mass index (BMI) tussen 18,5 en 30 kg / m² (inclusief en ook bij screening).
2. De proefpersonen moeten de aard van het onderzoek begrijpen en moeten een ondertekende en gedateerde schriftelijke geïnformeerde toestemming overleggen voordat enige aan onderzoek gerelateerde procedures worden uitgevoerd.
3. Vrouwen moeten gedurende ≥ 1 jaar postmenopauzaal zijn of operatief steriel zijn (na afbinden van de eileiders, hysterectomie of bilaterale ovariëctomie) gedurende ten minste 6 maanden of, als ze zwanger kunnen worden en niet abstinente zijn, bereid zijn een zeer effectieve anticonceptiemethode te gebruiken van screening tot 90 dagen na de laatste dosis onderzoeksgeneesmiddel. Voor een gedetailleerde uitsplitsing van de anticonceptiemethoden die als zeer effectief kunnen worden beschouwd, en de aanvaardbare anticonceptiemethoden die mogelijk niet als zeer effectief worden beschouwd, raadpleegt men respectievelijk sectie 11.4 en sectie 11.5 van het protocol.
4. Vrouwen die abstinente zijn, hoeven geen voorbehoedsmiddel te gebruiken, tenzij ze seksueel actief worden.
5. Vrouwen die zwanger kunnen worden en hormonale anticonceptie gebruiken, moeten samen met hun mannelijke partner ook ten minste één barrièremethode toepassen.
6. Vrouwen moeten gedurende deze periode afzien van het doneren van eicellen (eicellen).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Geschiedenis van coagulopathie.
2. Geschiedenis van malabsorptie van vet.
3. Dieetbeperkingen die deelname uitsluiten.
4. Voorgeschiedenis van allergieën of bijwerkingen op PTC857 of op enige hulpstoffen in de formulering van het onderzoeksgeneesmiddel.
5. Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven.
6. Vrijwilligers met een voorgeschiedenis van klinisch significante gastro-intestinale, renale, hepatische, neurologische, hematologische, endocriene, oncologische, pulmonale, immunologische, psychiatrische of cardiovasculaire ziekte of enige andere aandoening die, naar de mening van de onderzoeker, de veiligheid van de vrijwilliger of de validiteit van de studieresultaten beïnvloeden.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	18-06-2021
Aantal proefpersonen:	16
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-05-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-06-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

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	EUCTR2021-001948-10-NL
CCMO	NL77772.056.21

Resultaten

Datum resultaten gemeld: 08-03-2022

Datum eerste publicatie onderzoek

16-12-2021

URL result

Type

int

Naam

M2.1 Wetenschappelijke samenvatting M3. Clinical study report Synopsis 16Dec21

URL

Type

int

Naam

M2.1 Wetenschappelijke samenvatting M3. Clinical study report Synopsis 16Dec21

URL