

# Prospectieve studie naar veiligheid en werkzaamheid van gentherapie met voretigene neparvovec (Luxturna®) in patiënten met RPE65-geassocieerde erfelijke netvlies-degeneraties

Gepubliceerd: 26-01-2021 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Het verzamelen van \*real world\* data aangaande veiligheid en werkzaamheid van gentherapie met voretigene neparvovec (Luxturna®) op de lange termijn.

|                             |                                                     |
|-----------------------------|-----------------------------------------------------|
| <b>Ethische beoordeling</b> | Goedgekeurd WMO                                     |
| <b>Status</b>               | Werving gestart                                     |
| <b>Type aandoening</b>      | Oogaandoeningen, congenitaal (excl. glaucoom)       |
| <b>Onderzoekstype</b>       | Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen |

## Samenvatting

### ID

NL-OMON50929

### Bron

ToetsingOnline

### Verkorte titel

Visuele functie na behandeling met Luxturna®

### Aandoening

- Oogaandoeningen, congenitaal (excl. glaucoom)

### Synoniemen aandoening

RPE65-geassocieerde erfelijke netvliesdegeneraties

### Betreft onderzoek met

Mensen

### Ondersteuning

**Primaire sponsor:** Oogziekenhuis Rotterdam

**Overige ondersteuning:** Stichting Wetenschappelijk Onderzoek Het Oogziekenhuis - Prof. dr. H.J. Flieringa

## Onderzoeksproduct en/of interventie

**Trefwoord:** gentherapie, RPE65 mutaties, voretigene neparvovec, werkzaamheid

## Uitkomstmaten

### Primaire uitkomstmaten

\*Full-field stimulus\* test na 1 jaar.

### Secundaire uitkomstmaten

Visus

Gezichtsveld

Mobiliteitsparcours

## Toelichting onderzoek

### Achtergrond van het onderzoek

RPE65-geassocieerde erfelijke netvliesdegeneraties zijn zeldzaam, en vormen 5\*10% van alle manifeste autosomaal-recessieve IRDs bij kinderen. Op jonge leeftijd kan de visuele functie van deze patiënten variëren, maar blindheid is onvermijdelijk. Gentherapie met voretigene neparvovec (Luxturna®) is goedgekeurd door zowel FDA als EMA.

### Doel van het onderzoek

Het verzamelen van \*real world\* data aangaande veiligheid en werkzaamheid van gentherapie met voretigene neparvovec (Luxturna®) op de lange termijn.

### Onderzoeksopzet

Multi-center prospectieve, observationele studie; FU: 5 jaar.

### Inschatting van belasting en risico

Metingen voor deze studie maken deel uit van de klinische routine. Extra tijd

voor elke MLMT is 4 uur; risico\*s zijn verwaarloosbaar.

## Contactpersonen

### Publiek

Oogziekenhuis Rotterdam

Schiedamse Vest 180  
Rotterdam 3011 BH  
NL

### Wetenschappelijk

Oogziekenhuis Rotterdam

Schiedamse Vest 180  
Rotterdam 3011 BH  
NL

## 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)

Gepland voor behandeling met Luxturna®

Toestemming

## Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Geen

## Onderzoeksopzet

### Opzet

**Type:** Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

### Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 15-03-2021

Aantal proefpersonen: 20

Type: Werkelijke startdatum

## Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-01-2021

Soort: Eerste indiening

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 25-02-2021

Soort: Eerste indiening

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

ID: 22976

Bron: NTR

Titel:

## In overige registers

| Register | ID                     |
|----------|------------------------|
| EudraCT  | EUCTR2021-000265-33-NL |
| CCMO     | NL76234.000.21         |
| OMON     | NL-OMON22976           |