

Een niet-interventionele mechanistische studie om de cardiale biomarkers en mitochondriële functie in patienten met mitochondriële ziekte en cardiomyopathie, en gezonde vrijwilligers, te karakteriseren.

Gepubliceerd: 01-08-2021 Laatste bijgewerkt: 17-01-2025

Nagaan of biomarkers van mitochondriële disfunctie, gemeten in geïsoleerde PBMC's of immuuncel subpopulaties, verschillen tussen personen met mitochondriële aandoeningen/cardiomyopathie en die van gezonde vrijwilligers.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON51060

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Biomarkers in mitochondriële patiënten en gezonde vrijwilligers

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

Synoniemen aandoening

cardiomyopathie, energiestofwisselingsziekte, mitochondriële ziektes

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: OMEICOS Therapeutics GmbH

Overige ondersteuning: Pharmaceutical company

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Biomarker, Mitochondriale dysfunctie, Mitochondriale ziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het verschil in mitochondriale functie tussen MitoD- en HV-proefpersonen
gemeten met assays

Secundaire uitkomstmaten

Verschil in bloedserum/plasma markers geassocieerd met ontsteking en oxidatieve stress (IL-6, hs-CRP, PTX-3, en GDF-15) tussen MitoD proefpersonen en HV proefpersonen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

OMT-28 is een volledig synthetische kleine molecule die behoort tot de familie van 17,18-epoxyeicosatetraeenzuuranalogen (17,18-EEQ), een natuurlijke metaboliet van het omega-3 vetzuur eicosapentaeenzuur (EPA). 1,2 De veiligheid van verschillende doses OMT-28 is onderzocht in toxicologische studies bij verschillende diersoorten, alsook in een First-in-Human studie met inbegrip van een Single-Ascending-Dose (SAD)- en Multiple-Ascending-Dose (MAD)-gedeelte, en een Fase 2a Proof-of-Concept (PoC)-studie (PROMISE-AF) bij proefpersonen met atriale fibrillatie. Recente niet-klinische studies toonden aan dat OMT-28 potentieel de mitochondriale functie en overleving positief kan beïnvloeden. Daarom wordt OMT-28 momenteel ontwikkeld voor de behandeling van cardiomyopathie bij proefpersonen met mitochondriale ziekten en bij proefpersonen met coronaire hartziekte.

Proefpersonen met een mitochondriale stoornis en cardiomyopathie zouden baat kunnen hebben bij een behandeling met OMT-28, vanwege de potentiële positieve effecten van OMT-28 op de mitochondriale functie en overleving. Deze niet-interventionele studie heeft tot doel deze proefpersonen te karakteriseren aan de hand van verschillende markers van mitochondriale functie en ontsteking, en om met behulp van ex-vivotests in bloed het potentiële effect van OMT-28 op de mitochondriale functie te beoordelen.

Het doel van deze niet-interventionele studie is de proefpersonen te karakteriseren met betrekking tot hun niveaus van mitochondriale disfunctie en ontstekings markers, en de proefpersonen te identificeren die het meeste baat zouden kunnen hebben bij een behandeling met OMT-28, gebaseerd op de resultaten van de ex-vivo bloedtesten. De resultaten van deze studie worden verondersteld richting te geven aan de opzet van toekomstige klinische interventiestudies met OMT-28.

Doel van het onderzoek

Nagaan of biomarkers van mitochondriale disfunctie, gemeten in geïsoleerde PBMC's of immuuncel subpopulaties, verschillen tussen personen met mitochondriale aandoeningen/cardiomyopathie en die van gezonde vrijwilligers.

Onderzoeksopzet

Dit is een niet-interventionele studie met een cross-sectionele opzet. De proefpersonen zullen geen behandeling ondergaan.

Inschatting van belasting en risico

Noch MitoD-patiënten, noch HV's zullen direct baat hebben bij deze studie. MitoD-patiënten zouden indirect baat kunnen hebben, aangezien OMT-28 geëvalueerd wordt als een potentiële behandeling voor MitoD. Aangezien alle studiebeoordelingen als minimaal invasief worden beschouwd, wordt de baten-risicobeoordeling aanvaardbaar geacht voor de deelnemers. Dit is een verkennende, niet-interventionele studie om de markers van mitochondriale disfunctie, ontsteking en hartdysfunctie in MitoD proefpersonen en gezonde vrijwilligers te karakteriseren. De distributie en variabiliteit van deze biomarkers zijn onbekend in deze populaties

*

Contactpersonen

Publiek

OMEICOS Therapeutics GmbH

Robert-Rössle-Strasse 10
Berlin 13125
DE

Wetenschappelijk

OMEICOS Therapeutics GmbH

Robert-Rössle-Strasse 10
Berlin 13125
DE

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)

Alle deelnemers

1. Kinderen en volwassenen tussen 18 en 75 jaar oud, inclusief
2. Body mass index (BMI) tussen 18.0 en 30.0, inclusief
3. In staat tot en bereid o geen alcohol te consumeren bij studiebezoek
4. Deelnemer (of ouder/voogd) heeft vrijwillig het consent formulier getekend
5. In staat en bereid zijn om alle studie procedures te volgen
6. In staat om in Engels of Nederlands met de onderzoeker te communiceren

Deelnemers in cohort 1 met mitochondriële ziekte

7. Diagnose van mitochondriële stoornis, bevestigd door:
 - a. Genetische tests op elk moment voorafgaand aan screening die

m.3243A>G-mutatie tonen

b. Newcastle Mitochondrial Disease Scale (NMDAS) score *11

8. Huidige cardiomyopathie (bv. LVH, verminderde systolische functie of spanning, ECG-afwijkingen die wijzen op betrokkenheid van het hart, enz.)

Deelnemers in cohort 2, gezonde vrijwilligers

9. Naar het oordeel van de onderzoeker in goede gezondheid bevonden op basis van een medisch onderzoek waaruit blijkt dat er geen klinisch relevante afwijking is

10. Overeenkomend met MitoD-groep voor leeftijd (+/- 5 jaar), geslacht en BMI (+/- 3 kg/m²).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

2. Vrouwen met een positieve urine hCG test bij screening
3. Deelnemer heeft een hemoglobine waarde buiten de normaalwaarden van het lokale lab
4. Deelnemer heeft in de 3 maanden voor de studie therapie met cytostatica, sGC stimulators/activators of nitraten gekregen
5. Personen met ernstige aortaklepstenose
6. Deelnemer heeft in de 3 maanden voor de studie therapie met metformine gekregen
7. Significante psychiatrische of neurologische ziekte die het onmogelijk maakt voor de deelnemer om deel te nemen aan de studie
15. Positieve nasofaryngeale snelle antigeentest voor SARS-CoV-2 bij opname in het klinisch onderzoekscentrum
16. Deelnemer is gevaccineerd in de twee weken voorafgaand aan visite 1

Deelnemers in cohort 2, gezonde vrijwilligers

17. Deelnemer heeft acuut gedecompenseerde hepatische, gastrointestinale, respiratoire, cardiovasculaire, metabole, immunologische, of hormonale ziekte.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Beëindigd

(Verwachte) startdatum: 13-10-2021

Aantal proefpersonen: 16

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 01-08-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 30-09-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 20-10-2021

Soort: Amendement

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

ID: 21411

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL77982.056.21

Resultaten

Einddatum onderzoek: 19-11-2021

Datum resultaten gemeld: 25-07-2022

Datum eerste publicatie onderzoek

23-06-2022