

Een uitvoerbaarheidsonderzoek voor het beoordelen van PDE Max, een voeding voor speciale medische doeleinden (FSMP) voor gebruik bij het voedingsbeheer van Pyridoxine-afhankelijke epilepsie (PDE) met betrekking tot de aanvaardbaarheid, verdraagbaarheid, naleving en werking op metabole controle.

Gepubliceerd: 17-02-2021 Laatste bijgewerkt: 08-04-2024

Het evalueren van de aanvaardbaarheid, tolerantie en therapietrouw tijdens een 8 weken durende inname van PDE MAX bij patiënten met pyridoxine-afhankelijke epilepsie. De effecten op metabole controle evalueren door de veranderingen ten opzichte van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON51235

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Evaluatie van PDE Max

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

- Aangeboren metabolismestoornissen

Synoniemen aandoening

Antiquitinedeficiëntie/ Vitamine B6-afhankelijke insulten

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Vitaflo International Ltd

Overige ondersteuning: Bedrijf Vitaflo International

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: eiwitvervanger, erfelijke stofwisselingsziekte, medische voeding, Pyridoxine-afhankelijke epilepsie (PDE)

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Evaluatie van de aanvaardbaarheid, tolerantie en therapietrouw van het product tijdens een 8 weken durende inname van PDE MAX bij patiënten met pyridoxine-afhankelijke epilepsie.

Secundaire uitkomstmaten

Om de veranderingen ten opzichte van de nulwaarden te observeren, na 8 weken inname van PDE MAX, in PDE-biomarkers:

- 6-oxo-pipecolzuur in bloedspots, plasma en urine
- P6C in plasma en bloedspots
- α AASA in plasma en urine
- Aminozuurprofiel in plasma
- Volbloed serotonine
- Pyridoxaalfosfaat in plasma

- Vitameren in plasma
- Organische zuren in urine
- 2OPP in bloedspots, plasma en urine

De resultaten zullen worden gebruikt ter ondersteuning van het registratieproces bij de relevante instanties in Nederland en in het VK met het oog op registratie voor verkoop en / of terugbetaling van het product.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Pyridoxine-afhankelijke epilepsie (PDE) is een zeldzame (~ 1: 350.000), erfelijke aandoening die wordt gekenmerkt door terugkerende en medicijnresistente epilepsie aanvallen. De aandoening is pyridoxine (vitamine B6) afhankelijk en patiënten worden met hoge doses hiervan behandeld, hoewel ze geen tekort hebben. 75% van de patiënten heeft een verstandelijke ontwikkelingsstoornis en / of vertraging, ondanks adequate controle van epilepsie aanvallen door behandeling. De beste methode is voor drievoudige therapie: pyridoxine-, argininesuppletie en lysinebeperking.

Er is vaak een uitgestelde diagnose. 6-oxo-pipecolzuur is geïdentificeerd als een nieuwe biomarker die gebruik maakt van de huidige screeningstechnieken voor pasgeborenen. Een andere biomarker is onlangs ook ontdekt, 2OPP.

Er is momenteel geen eiwitvervanger die specifiek voor PDE is ontworpen. Patiënten krijgen een *best fit* dieet aangeboden op basis van een andere aandoening, Glutaaracidurie type 1(GA1). De GA1-producten bevatten weinig lysine maar ook weinig tryptofaan, wat een tekort kan veroorzaken bij PDE-patiënten. Vanwege de restrictieve aard van het eiwitarm dieet, lopen PDE-patiënten ook een verhoogd risico op tekorten aan micronutriënten. Er worden vitamines, mineralen en sporenelementen in PDE MAX opgenomen om de micronutriënten die normaal gesproken via de eiwitinname via de voeding zouden worden geconsumeerd, adequaat te vervangen.

De studie zal maximaal 15 deelnemers van één jaar en ouder rekruteren om PDE Max te beoordelen op aanvaardbaarheid en tolerantie.

Doel van het onderzoek

Het evalueren van de aanvaardbaarheid, tolerantie en therapietrouw tijdens een 8 weken durende inname van PDE MAX bij patiënten met pyridoxine-afhankelijke epilepsie.

De effecten op metabole controle evalueren door de veranderingen ten opzichte van de uitgangswaarde te vergelijken na een 8 weken durende inname van PDE MAX in de biomarkers beschreven bij Secundaire onderzoeksvariabelen.

Onderzoeksopzet

Dit is een prospectieve feasibility studie bij maximaal 15 deelnemers van één (1) jaar en ouder met PDE MAX voor de dieetbehandeling van pyridoxine-afhankelijke epilepsie. Proefpersonen krijgen een voorraad PDE MAX van acht weken en worden gevraagd om een dagelijks dagboek en een korte vragenlijst in te vullen om informatie vast te leggen over het volgende:

- Naleving van inname
- Maag darm tolerantie
- Smakelijkheid
- Hoe het product wordt gebruikt

Aan het begin en aan het einde van de studie worden bloed- en urinemonsters genomen om verschillende biochemische parameters te meten. Aan het begin en aan het einde van het onderzoek worden lichamelijke en neurologische beoordelingen uitgevoerd door de plaatselijke arts. Routinematige opvolging van lysinespiegels zal worden voortgezet.

Vervolgens kunnen patiënten PDE Max blijven gebruiken als dit door de arts, diëtiste en patiënt wenselijk is geacht. De patiënten worden dan gedurende 12 maanden gevolgd volgens de reguliere zorg en er zullen gegevens over groei, lysine gehalten en dieet informatie worden verzameld om ook het gebruik op de langere duur te beoordelen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

15 deelnemers van één (1) jaar en ouder starten met een 3-daagse basislijnperiode van hun huidige dieetbehandeling en zullen de volgende 53 dagen PDE MAX aan hun dieet toevoegen onder leiding van een diëtist. Bloed- en urinemonsters zullen worden genomen bij de nulmeting en aan het einde van de studie voor biomarkeranalyse. Deelnemers of hun ouders / voogd vullen een dagboek in over therapietrouw en epileptische aanvallen tijdens het onderzoek en een dagboek met GI-symptomen in week 1, 4 en 8.

Inschatting van belasting en risico

Resultaten van deze studie zullen inzicht geven in de aanvaardbaarheid en tolerantie van PDE Max als deel van de dieetbehandeling om de metabole gezondheid van mensen met PDE te verbeteren.

De risico's van de metingen zijn laag en er wordt weinig fysiek of mentaal

ongemak verwacht. Verwachte bijwerkingen kunnen gastro-intestinale symptomen zijn na het consumeren van PDE MAX. Patiënten gebruiken reeds andere lysinevrije eiwitvervangers, hoewel deze niet goed zijn aangepast op de PDE aandoening. PDE Max heeft een adequatere eiwitsamenstelling voor deze groep patiënten. Dit kan leiden tot betere resultaten voor de patiënten en maakt het mogelijk om patiënten een geschikter dieet voor PDE voor te schrijven.

Contactpersonen

Publiek

Vitaflo International Ltd

Sefton Street 182
Liverpool L3 4BQ
GB

Wetenschappelijk

Vitaflo International Ltd

Sefton Street 182
Liverpool L3 4BQ
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

Baby's en peuters (28 dagen - 23 maanden)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- i) Diagnose van pyridoxine-afhankelijke epilepsie (PDE), biochemisch en / of genetisch bevestigd.
- ii) Man of Vrouw van één (1) jaar en ouder. Elke deelnemer van 16 jaar en ouder bij screening moet in staat zijn om zelf toestemming te geven.
- iii) Momenteel een lysinebeperkt dieet gevolgd gedurende minimaal vier (4) weken voorafgaand aan screening.
- iv) Bereid om het studieproduct in te nemen en het advies van de diëtist op te volgen.
- v) Vrijwillig schriftelijke, geïnformeerde toestemming van patiënt of ouder / voogd.
- vi) Vrijwillig, schriftelijke instemming van kind (indien van toepassing).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- i) Onvermogen om het studieprotocol na te leven, naar het oordeel van de onderzoeker.
- ii) Gebruik van aanvullende macro- / micronutriëntensupplementen tijdens de onderzoeksperiode, tenzij klinisch nodig en voorgeschreven door de onderzoeker, zoals, maar niet beperkt tot, arginine en pyridoxine. In dat geval moet de inname vier (4) weken voorafgaand aan de screening zijn begonnen zonder verwachte veranderingen in de inname tijdens het onderzoek.
- iii) Deelnemers die zwanger zijn / borstvoeding geven aan het begin van het onderzoek of van plan zijn zwanger te worden tijdens de onderzoeksperiode. Deelnemers die zwanger kunnen worden, moeten voorafgaand een zwangerschapstest ondergaan.
N.B. : Deelnemers die tijdens dit onderzoek onverwachts zwanger worden, kunnen, in overleg met hun arts, desgewenst doorgaan met het voedingsproduct van het onderzoek, maar zullen geen onderzoeken ondergaan die normaal niet tijdens de zwangerschap zouden worden uitgevoerd.
- iv) Allergie voor een ingrediënt dat in het onderzoeksproduct aanwezig is.
- v) Andere gelijktijdige medische of psychiatrische aandoeningen die, naar de mening van de onderzoeker, de proefpersoon in een verhoogd risico zouden plaatsen, het verkrijgen van vrijwillige toestemming / instemming of naleving van de vereiste onderzoeksprocedures onmogelijk zouden maken, of de doelstellingen van het onderzoek zouden beïnvloeden.
- vi) Neemt deel aan een ander interventioneel onderzoek en heeft binnen 30 dagen voorafgaand aan de screening een ander geneesmiddel, product of hulpmiddel voor onderzoek ontvangen of neemt deel aan een niet-geneesmiddel onderzoek dat, naar de mening van de onderzoeker, de naleving of de uitkomsten van het onderzoek

zou verstoren.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Preventie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 24-06-2021

Aantal proefpersonen: 7

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 17-02-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 29-11-2021

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
Ander register	NCT04672226
CCMO	NL75819.091.20

Resultaten

Einddatum onderzoek:	30-11-2022
Totaal aantal deelnemers:	5