

Fase 1 open-label, cross-over onderzoek om het effect van voedsel op de farmacokinetiek en veiligheid van een enkelvoudige orale dosis PTC518 bij gezonde vrijwilligers te evalueren.

Gepubliceerd: 17-01-2022 Laatste bijgewerkt: 27-12-2024

In dit onderzoek onderzoeken we het effect van eten op hoe het onderzoeksmiddel PTC518 door het lichaam wordt opgenomen, getransporteerd, en uitgescheiden. We onderzoeken ook hoe veilig het nieuwe middel PTC518 is en hoe goed het wordt verdragen als...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON51584

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PTC518 voedsel effect studie.

Aandoening

- Neurologische aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

hersenziekte, Ziekte van Huntington

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: PTC Therapeutics, Inc.

Overige ondersteuning: Pharmaceutical industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Farmacokinetiek, PTC518, Veiligheid, Voedsel

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het effect van voedsel op de PK van PTC518 toegediend aan gezonde proefpersonen in gevoede en nuchtere toestand karakteriseren.

Secundaire uitkomstmaten

De veiligheid en verdraagbaarheid van een enkele dosis PTC518 toegediend aan gezonde proefpersonen onder gevoede en nuchtere omstandigheden karakteriseren.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

PTC518 is een nieuw middel dat mogelijk gebruikt kan worden bij de behandeling van de ziekte van Huntington. De ziekte van Huntington is een erfelijke ziekte in de hersenen waarbij zenuwcellen worden afgebroken. Dit veroorzaakt problemen met beweging en denken. De ziekte van Huntington wordt veroorzaakt door een fout in de genetische informatie (DNA), wat resulteert in een schadelijke versie van een eiwit genaamd huntingtin. Deze versie van het huntingtin eiwit beschadigt hersencellen. Het verminderen van de hoeveelheid huntingtin is een mogelijke manier om de ziekte van Huntington te behandelen. Het onderzoeksmiddel PTC518 heeft tot doel de aanmaak van het huntingtin eiwit te verminderen.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek onderzoeken we het effect van eten op hoe het onderzoeksmiddel PTC518 door het lichaam wordt opgenomen, getransporteerd, en uitgescheiden.

We onderzoeken ook hoe veilig het nieuwe middel PTC518 is en hoe goed het wordt

verdragen als gezonde deelnemers dit gebruiken.

PTC518 is al eerder door mensen gebruikt. Ook is het uitgebreid in het laboratorium getest en op dieren.

Onderzoeksopzet

Voor het onderzoek is het nodig dat de vrijwilliger 2 periodes van 5 dagen (4 nachten) in het onderzoekscentrum verblijft. De vrijwilliger komt tevens na vertrek uit elke periode ook nog terug naar het onderzoekscentrum voor een bezoek (Dag 11 [± 3 dagen] en Dag 32 [± 3 dagen]).

Dag 1 en Dag 22 zijn de dagen waarop het onderzoeksmiddel toedient wordt. We verwachten de vrijwilliger op de dag voorafgaand aan de inname van het onderzoeksmiddel in het onderzoekscentrum. De vrijwilliger verlaat het onderzoekscentrum dan na 4 nachten in het onderzoekscentrum.

Er zal 3 weken zitten tussen de doseringen.

Hieronder staat een overzicht van de dagen waarop de vrijwilliger in het onderzoekscentrum verblijft of waarop ze een bezoek brengen aan het onderzoekscentrum:

Keuring:

Dag -28 t/m Dag -2

Periode 1:

Binnenkomst op Dag -1

Verblijfsperiode van Dag -1 t/m Dag 4

Vertrek op Dag 4

Bezoek op Dag 11 (± 3 dagen)

Periode 2:

Binnenkomst op Dag 21

Verblijfsperiode van Dag 21 t/m Dag 25

Vertrek op Dag 25

Bezoek op Dag 32 (± 3 dagen)

Telefonische nacontrole:

Dag 35

PTC518 wordt als een tablet via de mond met 240 milliliter (ml) (kraan-) water toegediend.

Voor de dosering moet de vrijwilliger vasten gedurende tenminste 10 uur.

Tijdens vasten is water wel toegestaan, behalve van 1 uur voor tot 1 uur na

elke inname van het onderzoeksmiddel. Afhankelijk van in welke groep de vrijwilliger zit, krijgt men een vetrijk ontbijt, vetarm ontbijt, of geen ontbijt voorafgaand aan de dosering in elke periode. De vrijwilliger krijgt 2 van deze 3 mogelijkheden.

Er zijn 6 behandelvolgordes mogelijk. Welke volgorde de vrijwilliger volgt zal worden bepaald door loting.

1 = tijdens periode 1 een Vetarm ontbijt en tijdens periode 2 een Vetrijk ontbijt

2 = tijdens periode 1 een Vetrijk ontbijt en tijdens periode 2 een Vetarm ontbijt

3 = tijdens periode 1 een Vetarm ontbijt en tijdens periode 2 Vasten

4 = tijdens periode 1 Vasten en tijdens periode 2 een Vetarm ontbijt

5 = tijdens periode 1 een Vetrijk ontbijt en tijdens periode 2 Vasten

6 = tijdens periode 1 Vasten en tijdens periode 2 een Vetrijk ontbijt

Als de dosering wordt gedaan na ontbijt dan moet het ontbijt precies op tijd worden begonnen en binnen 20 minuten helemaal opgegeten zijn.

De handen en mond van de vrijwilligers worden na inname van het onderzoeksmiddel geïnspecteerd. Dit is om te controleren of het onderzoeksmiddel is ingenomen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

De vrijwilliger krijgt eenmaal per periode 20 milligram PTC518, dus in totaal 2 keer.

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 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 van de keuring tot de nacontrole ongeveer 109 ml bloed af. Deze hoeveelheid geeft bij volwassenen geen problemen. Ter vergelijking: bij de bloedbank wordt 500 ml bloed per keer in één 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 dan kan de totale hoeveelheid afgenomen bloed meer zijn dan de hierboven aangegeven hoeveelheid.

Hartfilmpje:

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

Vasten:

Als men tijdens het onderzoek langere tijd moet vasten, kan dit leiden tot symptomen zoals duizeligheid, hoofdpijn, maagklachten of flauwvallen.

Coronavirus test:

Monsters voor de coronavirus test zullen met wattenstaafjes achter 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 ogen gaan tranen.

Contactpersonen

Publiek

PTC Therapeutics, Inc.

Corporate Court 100
South Plainfield 07080 NJ
US

Wetenschappelijk

PTC Therapeutics, Inc.

Corporate Court 100
South Plainfield 07080 NJ
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. De vrijwilligers dienen de aard van het onderzoek te begrijpen en moeten toestemming geven middels het ICF voordat er studiegerelateerde procedures worden uitgevoerd en de vrijwilligers moeten voldoen aan alle protocolvereisten.
2. Geslacht: man of vrouw
3. Leeftijd: 18 t/m 65 jaar bij screening.
4. Body mass index (BMI): $\geq 18,0$ tot $30,0 \text{ kg/m}^2$ met een lichaamsgewicht $\geq 50,0$ kg voor mannelijke proefpersonen en een lichaamsgewicht $\geq 45,0$ kg voor vrouwelijke proefpersonen bij screening.
5. Gezond zoals bepaald door de onderzoeker of aangewezen persoon, op basis van een medische evaluatie met inbegrip van medische geschiedenis, lichamelijk onderzoek, laboratoriumtestresultaten, ECG-opname, en vitale functies tijdens de screening. Waarden die buiten het bereik vallen, kunnen eenmaal worden herhaald.

Verdere criteria zijn van toepassing, zie protocol.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Medewerker van PRA Health Sciences (PRA) of PTC.
2. Geschiedenis van overgevoelighedsreacties op een van de hulpstoffen in het onderzoeksgeneesmiddel en/of voedselallergieën.
3. Geschiedenis van maligniteit binnen 5 jaar, tenzij een van de volgende, behandeld en als genezen beschouwd: basaalcelcarcinoom, in situ baarmoederhalskanker of ductaal borstcarcinoom in situ.
4. Eerder gerandomiseerd in dit klinisch onderzoek.
5. Aders die niet geschikt zijn voor herhaalde venapunctie of voor canulatie.

Verdere criteria zijn van toepassing, zie protocol.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	26-04-2022
Aantal proefpersonen:	24
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-01-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-02-2022
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

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
EudraCT	EUCTR2021-006463-23-NL
CCMO	NL80261.000.22

Resultaten

Einddatum onderzoek: 01-07-2022

Datum resultaten gemeld: 25-04-2023

Datum eerste publicatie onderzoek

27-02-2023