

Toegang tot pirfenidon-oplossing voor inhalatie (AP01) voor de behandeling van progressieve, fibroserende interstitiële longziekten, inclusief idiopathische longfibrose

Gepubliceerd: 07-01-2021 Laatste bijgewerkt: 07-09-2024

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-515964-30-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. • Het voor patiënten mogelijk maken om door te gaan of te beginnen met een met AP01 voor de behandeling van ILD en IPF, voordat...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Luchtwegaandoeningen NEG
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON52355

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

AP01-005

Aandoening

- Luchtwegaandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

Interstitiële longziekte (ILD) die ontstekingen en littekens (fibrositis) van de longen veroorzaken

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Avalyn Pharma, Inc

Overige ondersteuning: Avalyn Pharma;Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: fibroserende ILD, Idiopathische pulmonale fibrose, Pirfenidon-oplossing voor inhalatie (AP01), Progressieve, voortzetten of starten met behandeling

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Uitkomstmaten voor de veiligheid

- tijdens de behandelingsperiode optredende bijwerkingen (adverse events, AE*s);
- tijdens de behandelingsperiode optredende gevallen van overlijden.

Uitkomstmaten voor de werkzaamheid

- geen uitkomstmaten voor de werkzaamheid

Secundaire uitkomstmaten

N/A

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De term interstitiële longziekte (ILD) omvat een grote groep van meer dan 200 longaandoeningen, waarvan de meeste als zeldzaam worden geclassificeerd. Hoewel idiopathische longfibrose (IPF) de klassieke fibroserende ILD is, suggereren klinische gegevens dat er een grotere groep patiënten is met verschillende klinische ILD-diagnoses die een progressief fibroserend fenotype ontwikkelen tijdens het verloop van hun ziekte.

Momenteel is het onderzoeksmiddel (pirfenidon) beschikbaar als behandeling voor idiopathische longfibrose, dat wordt gegeven in een capsule voor oraal gebruik. Studies hebben echter aangetoond dat het gebruik van oraal pirfenidon bij veel patiënten tot bijwerkingen leidt. In sommige gevallen verhinderen deze bijwerkingen het gebruik van medicatie. Een eerdere studie heeft aangetoond dat

een enkele dosis tot 100 mg / ml toegediend als geïnhaleerde formulering veilig was en goed werd verdragen. Het heeft aangetoond dat er meer pirfenidon in de longen werd opgenomen. Dit kan leiden tot een betere werkzaamheid en tot een verlaging van het gehalte aan onderzoeksmiddel dat door het bloed werd opgenomen. Dit veroorzaakt minder bijwerkingen.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-515964-30-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

- Het voor patiënten mogelijk maken om door te gaan of te beginnen met een met AP01 voor de behandeling van ILD en IPF, voordat het onderzoeksmiddel wettelijk goedgekeurd wordt of totdat het onderzoek is beëindigd
- Het beoordelen van de veiligheidsresultaten van patiënten die een behandeling met AP01 ondergaan

Onderzoeksopzet

Dit is een onderzoek naar pirfenidone-oplossing voor inhalatie (AP01) 100 mg tweemaal daags.

De primaire doelstelling is om het voor patiënten mogelijk te maken om door te gaan of te beginnen met AP01 als behandeling van ILD, met inbegrip van IPF. Een screeningsbezoek wordt uitgevoerd als de patiënt niet eerder opgenomen was in een door Avalyn gesponsord AP01-onderzoek. Als een patiënt eerder was ingeschreven in een door Avalyn gesponsord onderzoek met AP01, vindt een aangepast screeningsbezoek plaats.

Patiënten leggen om de 12 weken een bezoek af in het ziekenhuis voor het vastleggen van AEs en de longfunctie.

Als de patiënt om welke reden dan ook stopt met de behandeling, dan vindt een "Einde van behandeling" bezoek plaats.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patiënten krijgen 100 mg AP01 tweemaal daags toegediend met de PARI eFlow®-vernevelaar

Inschatting van belasting en risico

Raadpleeg het onderzoeksschema in het protocol, tabel 5 (pagina 36).

Dit onderzoek zal ongeveer 48 maanden duren, maar kan mogelijk ook eerder eindigen zodra het onderzoeksgeneesmiddel wettelijk wordt goedgekeurd.

De proefpersoon moet om de 12 weken naar het ziekenhuis komen zolang hij of zij aan dit onderzoek deelneemt. Daarnaast kan de proefpersoon worden gevraagd om

naar het ziekenhuis te komen voor een bezoek voor einde van onderzoek nadat hij of zij de behandeling met het onderzoeksgeneesmiddel heeft voltooid.

Het screeningsbezoek (indien vereist) en het eerste bezoek van de behandelingsperiode duren ongeveer 3 tot 4 uur. Alle andere bezoeken duren ongeveer 1 tot 2,5 uur.

De volgende tests en procedures vinden plaats tijdens deze bezoeken:

- medische voorgeschiedenis en demografische gegevens (1 keer);
- lichamelijk onderzoek, vitale functies (7 keer);
- urineonderzoeken (3 keer);
- zwangerschapstests bij vrouwen in de vruchtbare leeftijd (7 keer);
- bloedonderzoek (7 keer);
- spirometrietests (7 keer).

Contactpersonen

Publiek

Avalyn Pharma, Inc

Pike Street, Suite 1500 701
Seattle, WA 98101
US

Wetenschappelijk

Avalyn Pharma, Inc

Pike Street, Suite 1500 701
Seattle, WA 98101
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Een patiënt moet voldoen aan de volgende inclusiecriteria om in aanmerking te komen voor deelname aan de klinische studie:

1. Voormalige deelnemer aan een Avalyn AP01-onderzoek, uitgezonderd normale gezonde vrijwilligers
OF
2. Patiënten zonder andere behandelingsmogelijkheden met ILD*s inclusief maar niet beperkt tot IPF, fibroserend fenotype ILD, pulmonale betrokkenheid van sclerodermie, reumatoïde longaandoening en silicose. Voorafgaande goedkeuring van de sponsor (Avalyn Pharma, Inc.) voor rollover-patiënten uit een niet-Avalyn onderzoek is vereist.
3. Gediagnosticeerde chronische progressieve fibrotische longziekte, met inbegrip van IPF, zonder behandelingsalternatieven zoals
 - a. niet in aanmerking komen voor oraal pirfenidone en nintedanib vanwege nationale beperkingen omtrent de formulering of het ontbreken van de toepasselijke wettelijke goedkeuring;
 - b. intolerant zijn voor orale pirfenidone en nintedanib, indien eerder aangeboden;
 - c. niet in aanmerking komen voor een lopend klinisch onderzoek met AP01 anders dan dit onderzoek.
4. Ouder dan 18 jaar tijdens de screening
5. In staat een schriftelijk informatie- en toestemmingsformulier (informed consent form, ICF) te begrijpen en ondertekenen, voorafgaand aan deelname aan het onderzoek, consistent met de International Council on Harmonization Guideline for Good Clinical Practice (ICH-GCP) en lokale wetgeving
6. In staat het belang van naleving van de onderzoeksbehandeling en het onderzoeksprotocol te begrijpen en bereid om te voldoen aan alle vereisten van het onderzoek, inclusief de beperkingen m.b.t. gelijktijdige medicatie, gedurende het hele onderzoek
7. Vrouwen in de vruchtbare leeftijd moeten een effectieve anticonceptiemethode toepassen tijdens het klinisch onderzoek en 30 dagen na de laatste dosis AP01

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

De aanwezigheid van een van de volgende uitsluitingscriteria sluit een patiënt uit van deelname aan het onderzoek:

Ziektegerelateerde exclusies

1. Significante klinische verslechtering van IPF/ILD tussen de screening en dag 1, naar het oordeel van de Onderzoeker
2. Niet een geschikte kandidaat voor inschrijving of onwaarschijnlijk dat hij of zij voldoetaan de vereisten van dit onderzoek, naar het oordeel van de Onderzoeker
3. Voorgeschiedenis van acute IPF-exacerbatie waarvoor een ziekenhuisopname nodig was, in de afgelopen 30 dagen
4. Klinisch bewijs van actieve infectie, inclusief maar niet beperkt tot bronchitis, longontsteking, sinusitis, urineweginfectie en cellulitis

Medische exclusies

5. Vrouwen met een positieve zwangerschapstest bij screening of die momenteel borstvoeding geven
6. Voorgeschiedenis van maligniteit die waarschijnlijk aanzienlijke invaliditeit zal veroorzaken of waarvoor een belangrijke medische of chirurgische interventie nodig is in de komende 6 maanden. Dit omvat geen kleine chirurgische ingrepen voor gelokaliseerde kanker (bijv. basaalcelcarcinoom)
7. Andere aandoeningen dan IPF die, naar mening van de onderzoeker, waarschijnlijk zullen leiden tot het overlijden van de patiënt binnen de komende 6 maanden
8. Voorgeschiedenis van ernstige leverinsufficiëntie of terminale leverziekte of AST of ALT hoger dan 5 keer de bovenlimiet van de normaalwaarde bij de screening
9. Voorgeschiedenis van terminale nierziekte waarvoor dialyse nodig is
10. Deelname aan een klinisch onderzoek met toediening van een onderzoeksmiddel in de afgelopen 30 dagen, of vijf halfwaardetijden van het eerder toegediende onderzoeksmiddel
11. Overgevoeligheid voor de werkzame stof of voor één van de hulpstoffen van pirfenidone

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland
Status: Werving gestart
(Verwachte) startdatum: 16-07-2021
Aantal proefpersonen: 4
Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Pirfenidon-oplossing voor inhalatie
Generieke naam: N/A

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 07-01-2021
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO
Datum: 21-04-2021
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO
Datum: 09-03-2022
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO
Datum: 21-02-2024
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-03-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	MEC-U: Medical Research Ethics Committees United (Nieuwegein)

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	380951
CTIS	CTIS2024-515964-30-00
EudraCT	EUCTR2020-005103-39-NL
CCMO	NL75957.100.20