

Een studie van de ziekteprogressie bij genetisch gedefinieerde proefpersonen met geografische atrofie secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie

Gepubliceerd: 03-07-2019 Laatste bijgewerkt: 14-03-2025

Het evalueren van het natuurlijke beloop van anatomische en functionele visuele parameters bij genetisch gedefinieerde proefpersonen met geografische atrofie (GA) als gevolg van leeftijdsgebonden maculadegeneratie (LMD)

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Visusstoornissen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON52960

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

GTSCOPE studie

Aandoening

- Visusstoornissen

Synoniemen aandoening

Geografische Atrofie, Leeftijdsgebonden maculadegeneratie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Gyroscope Therapeutics Limited

Overige ondersteuning: Gyroscope Therapeutics Limited

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Droge leeftijdsgebonden maculadegeneratie, Geografische Atrofie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De volgende eindpunten worden bepaald:

- Grootte van het GA-gebied, beoordeeld aan de hand van fundusautofluorescentie (FAF)
- Gecorrigeerde visus (Best Corrected Visual Acuity, BCVA) -score, beoordeeld aan de hand van de ETDRS (Early Treatment Diabetic Retinopathy Study) -kaart in omstandigheden met een standaard en lage luminantie
- De mate van GA-progressie op basis van anatomische bevindingen op een kleuren fundusfoto en spectraal-domein optische coherentietomografie (SD-OCT)
- Monoculaire en binoculaire leesnelheid zoals beoordeeld door de Minnesota Low-Vision Reading Test (MNRead) -kaart.
- Kwaliteit van leven (Quality of Life, QoL) -score gemeten met de Vragenlijst visueel functioneren bestaande uit 25 items (National Eye Institute Visual Functioning Questionnaire-25-item, NEI VFQ-25)
- Retinale sensitiviteit beoordeeld aan de hand van microperimetrie
- Percentage deelnemers met betekenisvolle medische voorvallen (Medical Events of Interest, MEI's)

Secundaire uitkomstmaten

N.V.T.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Droge LMD is een ziekte van het netvlies die leidt tot verlies van gezichtsvermogen in de macula (centrum van het oog). Wanneer droge LMD vordert kan dit leiden tot de aandoening geografische atrofie, wat verder verlies van gezichtsvermogen veroorzaakt door degeneratie van de cellen in het netvlies. Uiteindelijk kan dit leiden tot wazig of verlies van gezichtsvermogen dat een of beide ogen aantast.

Momenteel is er geen behandeling beschikbaar voor droge LMD.

Een familie geschiedenis van droge LMD verhoogd het risico op ontwikkeling van de ziekte, wat suggereert dat er een genetische link is. Het is ook aangetoond dat een overactivatie van een deel van het immuunsysteem, genaamd het complement systeem, bijdraagt aan de ziekte.

Een recente studie heeft aangetoond dat proefpersonen met een bekend familie geschiedenis dat een overactieve complement systeem hebben, nog een grotere risico lopen op het ontwikkelen van ernstige droge LMD ziekte dan proefpersonen die deze twee risico factoren niet hebben.

Doel van het onderzoek

Het evalueren van het natuurlijke beloop van anatomische en functionele visuele parameters bij genetisch gedefinieerde proefpersonen met geografische atrofie (GA) als gevolg van leeftijdsgebonden maculadegeneratie (LMD)

Onderzoeksopzet

Dit is een observationele studie ter beoordeling van de natuurlijke progressie van anatomische en functionele visuele parameters bij genetisch gedefinieerde proefpersonen met GA door LMD. Voor elke proefpersoon zal de studie bestaan uit 7 bezoeken in een periode van ongeveer 96 weken. De proefpersonen kunnen uit de studie worden gehaald als ze in aanmerking komen voor een interventionele studie. Alle deelnemende proefpersonen ondergaan functionele visuele en retinale beeldvormings-/anatomische onderzoeken gedurende de studieperiode.

Inschatting van belasting en risico

Proefpersonen zullen worden gescreend op geschiktheid gedurende een periode van 4 tot 6 weken en vervolgens worden gevolgd gedurende een periode van 96 weken. Proefpersonen kunnen uit de studie worden gehaald als ze in aanmerking komen voor een interventionele studie.

Proefpersonen die in aanmerking komen voor opname in de studie, moeten een toestemmingsformulier voor genotypering ondertekenen waarin zij toestemming geven een monster af te staan voor genetische tests of de analyse toestaan van een bestaand monster. De monsters worden verzameld en verzonden naar een centraal laboratorium voor genotypering. De onderzoekslocatie kan een monsterafnameset naar het huisadres van de proefpersoon sturen, met instructies over hoe het speekselmonster moet worden afgenomen en moet worden verstuurd naar het centraal laboratorium. Als dat makkelijker is, kan de proefpersoon ook worden uitgenodigd om naar de onderzoekslocatie te komen om het monster te laten afnemen. In sommige gevallen kunnen bloed- of speekselmonsters die vóór de opname in de studie reeds zijn afgenomen en opgeslagen in de biobank van de onderzoekslocatie, worden gebruikt voor genotypering.

Bij het screenings-/aanvangsbezoek moeten proefpersonen het volledige proefpersoneninformatie- en toestemmingsformulier voor deelname aan de studie ondertekenen. Na ondertekening van het volledige proefpersoneninformatie- en toestemmingsformulier, zullen de volgende onderzoeken worden uitgevoerd op de studielocatie van de proefpersoon:

- Demografische gegevens bij aanvang, medische/chirurgische voorgeschiedenis, huidige/lopende medicatie
- Bloedmonsters voor CFI- en biomarkeranalyses
- Standaard oogheelkundig onderzoek voor beide ogen
- ETDRS BCVA. Gemeten voor beide ogen in omstandigheden met een standaard en lage luminantie.
- FAF
- 3-field kleuren fundusfotografie (Color Fundus Photography, CFP)
- SD-OCT
- Retinale sensitiviteit via mesopische microperimetrie
- Monoculaire en binoculaire leesnelheid met MnRead-instrument
- QoL met behulp van NEI VFQ-25

De daaropvolgende bezoeken zijn gepland in week 12, 24, 48, 72 en 96. Beide ogen worden beoordeeld en geanalyseerd op ziekteprogressie.

Contactpersonen

Publiek

Gyroscope Therapeutics Limited

Rolling Stock Yard, 188 York Way,
London N7 9AS
GB

Wetenschappelijk

Gyroscope Therapeutics Limited

Rolling Stock Yard, 188 York Way,
London N7 9AS
GB

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Inclusiecriteria:; 1. Leeftijd ≥ 18 jaar, 2. In staat en bereid toestemming te geven voor studiedeelname, 3. Aanwezigheid van unilaterale of bilaterale GA door LMD, 4. De GA-laesie in ten minste één oog moet volledig binnen het FAF-beeld vallen, 5. Voor Groep 1 moeten proefpersonen een serum-CFI-niveau hebben onder de ondergrens van het assay in combinatie met een zeldzame genetische variant van het CFI-gen- OF voor Groep 2 moeten proefpersonen een genetische variant van een complementfactorgen hebben en niet in aanmerking komen voor Groep 1., 6. In staat zijn alle studiebezoeken af te leggen en de studieprocedures af te maken, 7. BCVA van 40 letters of beter, gebruik maken van de ETDRS-kaarten, met het oog dat voldoet aan inclusie criterium 3

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Exclusiecriteria:; 1. Bewijs van voorgeschiedenis van neovasculaire LMD of diabetische retinopathie; eerdere

intravitreale toediening van geneesmiddelen (ongeacht het oog) toegediend binnen 4 weken of 5 halfwaardetijden vóór het screenings-/aanvangsbezoek, afhankelijk van wat het langst is., 2. Elke andere significante oogheelkundige ziekte/-aandoening of niet-oogheelkundige ziekte/aandoening die de resultaten van de studie of het vermogen van de proefpersoon om deel te nemen naar de mening van de onderzoeker kan beïnvloeden., 3. Deelname aan een andere onderzoeksstudie met een experimenteel product binnen 4 weken of 5 halfwaardetijden, afhankelijk van wat het langst is, vanaf het screenings-/aanvangsbezoek OF het ondergaan van een gen-/celtherapie op een eerder moment.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Beëindigd

(Verwachte) startdatum: 01-11-2019

Aantal proefpersonen: 50

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-07-2019

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 13-08-2019

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-11-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-01-2022
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
CCMO	NL68811.091.19