

Een open-label, langetermijn vervolgonderzoek van ARGX-113-2006 met één groep in meerdere centra ter beoordeling van de veiligheid van efgartigimod intraveneus toegediend bij kinderen met gegeneraliseerde myasthenia gravis

Gepubliceerd: 28-06-2022 Laatste bijgewerkt: 14-09-2024

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-507379-23-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Het beoordelen van de veiligheid, tolerabiliteit en immunogeniciteit van Efgartigimod (IV) op de lange termijn in pediatrische...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Auto-immuunziekten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON53506

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ARGX-113-2008 / ADAPT JR+

Aandoening

- Auto-immuunziekten

Synoniemen aandoening

Gegeneraliseerde myasthenia gravis, gMG

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Argenx BVBA

Overige ondersteuning: argenx BV

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Efgartigimod, gegeneraliseerde myasthenia gravis, gMG, myasthenia gravis

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Veiligheid en tolerabiliteit van efgartigimod (IV) in de onderzoekspopulatie.

Secundaire uitkomstmaten

Evalueren van de immunogeniciteit van efgartigimod (IV) in de onderzoekspopulatie.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

gMG is een zeldzame, chronische, neuromusculaire auto-immuunziekte die wordt veroorzaakt door pathogene IgG's die zich richten op de neuromusculaire junctie, waardoor verminderde neuromusculaire transmissie en slopende en mogelijk levensbedreigende spierzwakte en chronische vermoeidheid worden veroorzaakt. Gegeneraliseerde spierzwakte resulteert in problemen met mobiliteit, spraak, slikken, zicht en ademhaling.

Efgartigimod is een humaan immunoglobuline (Ig) G1 (IgG1)-afgeleid Fc-fragment dat zich met nanomolaire affiniteit bindt aan de humane neonatale Fc-receptor (FcRn) dat wordt ontwikkeld voor de behandeling van gegeneraliseerde myasthenia gravis. Over het algemeen werd efgartigimod IV goed verdragen door gezonde volwassen deelnemers en door deelnemers met gMG. Er zijn geen belangrijke veiligheidsbevindingen naar voren gekomen in lopende en voltooide onderzoeken met efgartigimod. Meer informatie is te vinden in het IB.

Dit onderzoek is een vervolg op onderzoek ARGX-113-2006 (NL78028.058.21), het

eerste klinische onderzoek waarbij efgartigimod intraveneus wordt toegediend aan een pediatrische populatie.

Alleen deelnemers van de ARGX-113-2006 die dit onderzoek hebben doorlopen worden geïncorporeerd in de ARGX-113-2008.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-507379-23-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Het beoordelen van de veiligheid, tolerabiliteit en immunogeniciteit van Efgartigimod (IV) op de lange termijn in pediatrische patienten die overstappen vanuit het ARGX-113-2006 onderzoek en om toegang tot de medicatie te verzekeren voorafgaand aan commerciële verkrijgbaarheid of tot er een andere optie beschikbaar is om toegang tot efgartigimod te krijgen.

Onderzoeksopzet

ARGX-113-2008 is een open-label, multicenter, ongecontroleerd onderzoek bij pediatrische deelnemers met gMG die het ARGX-113-2006 onderzoek hebben afgerond.

Het onderzoek bestaat uit behandelperioden en behandelvrije perioden. Een behandel periode duurt 4 weken met een wekelijks bezoek en infusie van medicatie. Het is afhankelijk van het ziekteverloop van de patient hoeveel behandelperiodes zullen worden gedaan.

De behandelvrij periode duurt minimaal 28 dagen en de duur is daarna afhankelijk van wanneer er een nieuwe behandelperiode nodig is. Patienten worden gezien op 1 week na de laatste dosis, en zo lang er geen herbehandeling nodig is, worden patienten na het eerste bezoek elke 3 maanden telefonisch opgevolgd en elke 6 maanden in het ziekenhuis opgevolgd.

Deelnemers starten met een behandelperiode of behandelvrije periode aan de hand van de status van hun aandoening zoals beoordeeld door de onderzoeker en aantal dagen sinds de laatste dag van de laatste behandeling.

Het onderzoek eindigt wanneer Efgartigimod op de markt of op een andere manier verkrijgbaar voor de patientengroep.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Intraveneuze infusie met efgartigimod. Dit betreft 4 wekelijkse infusen gedurende per behandelperioden.

Inschatting van belasting en risico

In eerdere klinische onderzoeken met efgartigimod bij volwassenen hadden sommige mensen last van bijwerkingen. Sommige bijwerkingen kunnen samenhangen met

efgartigimod. Veel van deze bijwerkingen waren licht, duurden maar kort en er was weinig of geen behandeling voor nodig.

De meest gemelde bijwerkingen in onderzoeken waarin gezonde volwassenen efgartigimod of placebo kregen, waren:

- hoofdpijn
- verlagingen van het aantal witte bloedcellen
- verhogingen in de concentratie van een bloedtestmarker voor ontsteking (C-reactief eiwit)
- vermoeidheid
- gewone verkoudheid
- ongemak in de mond/keel
- het koud hebben

Sommige bijwerkingen traden op bij gezonde mensen die de placebo kregen en sommige bijwerkingen kwamen voor bij gezonde mensen die efgartigimod kregen in hogere doses dan de dosis die in dit onderzoek zal worden gebruikt. De meest gemelde bijwerkingen in andere onderzoeken bij volwassenen met gMG en trombocytopenie (een probleem met het bloed) die efgartigimod kregen, waren:

- hoofdpijn
- verkoudheid
- diarree
- infectie van de bovenste luchtwegen
- misselijkheid
- urineweginfectie
- spierpijn
- ongemak in de mond of keel

De meeste van bovengenoemde bijwerkingen waren milde tot matige bijwerkingen, duurden niet lang en zijn beoordeeld als niet gerelateerd aan de behandeling met efgartigimod. De meest voorkomende bijwerkingen, die gerelateerd zijn aan het onderzoeksmiddel, omvatten ontsteking van de luchtwegen, infectie van de bovenste luchtwegen, urineweginfectie, hoofdpijn en spierpijn.

De studie zal uitgevoerd worden in lijn met de Gedragscode Verzet Minderjarigen

Contactpersonen

Publiek

Argenx BVBA

Industriepark Zwijnaarde 7
Zwijnaarde 9052

BE

Wetenschappelijk

Argenx BVBA

Industriepark Zwijnaarde 7
Zwijnaarde 9052
BE

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)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Deelnemer heeft de ARGX-113-2006 studie doorlopen, gedefinieerd als:
 - a. De deelnemer heeft EoT (Eind van Trial) behaald in ARGX-113-2006 en gaat akkoord met deelname aan de ARGX-113-2008 studie.
 - b. De deelnemer is gekwalificeerd voor herbehandeling in the ARGX-113-2006 studie, maar kan geen behandelperiode en de vereiste tussen behandelperiode bezoeken afmaken binnen het tijds kader van de ARGX-113-2006 studie.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Vrouwelijke adolescenten die zwanger kunnen worden: Zwangerschap of lacterend, or de deelnemer is van plan zwanger te worden tijdens de studie of 90 dagen na de laatste dosis van de onderzoeksmedicatie.

2. Vroegtijdige discontinuering van de ARGX-113-2006 studie door: zwangerschap, het nemen van niet-toegestane medicatie, deelname aan een ander onderzoek met een onderzoeksproduct, of het voorkomen van levensbedreigende of een onderzoeksproduct gerelateerde bijwerking, naar beoordeling van de onderzoeker.
3. Een bekende overgevoeligheid voor Efgartigimod of een van de hulpstoffen
4. Heeft een levend verzwakt vaccin gekregen minder dan 4 weken voor start van de deelname.
5. Een van de volgende medische condities:
 - a. Klinisch significante ongecontroleerde bacteriele, virale of schimmel infectie bij start van de deelname.
 - b. Een andere bekende auto-immuun aandoening die naar mening van de onderzoeker zou interfereren met een accurate beoordeling van de klinische symptomen van gMG of die de deelnemer aan onnodig risico blootstellen.

Onderzoekopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	08-12-2022
Aantal proefpersonen:	2
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Efgartigimod
Generieke naam:	Efgartigimod

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 28-06-2022

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO

Datum: 14-10-2022

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-03-2023

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO

Datum: 14-04-2023

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

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
CTIS	CTIS2023-507379-23-00
EudraCT	EUCTR2021-002460-46-NL
CCMO	NL80575.058.22