

Een uitbreidingsonderzoek op lange termijn van het ARGX 117-2002-onderzoek ter evaluatie van de veiligheid en verdraagbaarheid, doeltreffendheid, farmacodynamiek, farmacokinetiek en immunogeniciteit van ARGX-117 op lange termijn bij volwassenen met multifocale motorische neuropathie.

Gepubliceerd: 19-09-2022 Laatste bijgewerkt: 30-11-2024

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-507052-69-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Het evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van ARGX-117 op lange termijn bij volwassen deelnemers met MMN

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

Samenvatting

ID

NL-OMON53633

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ARDA+

Aandoening

- Overige aandoening
- Auto-immuunziekten

Synoniemen aandoening

Spierziekte

Aandoening

Multifocal Motor Neuropathy

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: argenx BV

Overige ondersteuning: industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Extentie studie, fase 2, MMN, Spierziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Veiligheidsresultaten op basis van controle van bijwerkingen en andere veiligheidsbeoordelingen (klinische laboratoriumtests)

Secundaire uitkomstmaten

Gemodificeerde medische onderzoeksraad (mMRC)

Waarde en verandering in mMRC10 somscore vanaf de baseline

Percentage deelnemers dat minstens 2 punten verergering vertoont in de mMRC10-somscore

Waarde en verandering in de mMRC14-somscore vanaf de baseline

Percentage deelnemers dat minstens 2 punten verergering vertoont in de mMRC-14-somscore

Percentage deelnemers dat minstens 1 of meer punten verergering vertoont in minstens 2 spiergroepen zoals beoordeeld door de mMRC-14-somscore

Percentage deelnemers zonder verergering in 2 of meer spiergroepen zoals
beoordeeld door de mMRC14-somscore

Waarde en verandering in de gemiddelde score van de 2 belangrijkste
spiergroepen vanaf de baseline zoals beoordeeld door de mMRC-14-somscore

Grijpkracht (GK)

Waarden, verandering en percentageverandering in GK vanaf de baseline

Percentage deelnemers met een vermindering in GK van >30%

Percentage deelnemers met een vermindering in GK van 8 kilopascal (kPa) of meer.

Waarden en verandering in de door Rasch ontwikkelde algemene
invaliditeitsschaal voor MMN (MMN-RODS) vanaf de baseline

Waarden en verandering in gemiddelde tijd voor de functie van het bovenste
ledemaat (arm en hand) vanaf de baseline (test met 9 gatenbord en pinnetjes
[9-HPT] of getimed test met gatenbord)

Percentage deelnemers per niveau van ernst op elke dimensie van EQ-5D-5L

Waarde en verandering in visueel analoge schaal (visual analog scale, VAS) van
EQ-5D-5L vanaf de baseline

Waarden en verandering in de chronische, verworven polyneuropathie -
patiëntgerapporteerde index (CAP-PRI) vanaf de baseline

Waarden en verandering in de schaal van ernst van vermoeidheid (FSS) met 9
items vanaf de baseline

Waarden van de algemene indruk van verandering door de patiënt (PGIC) schaal

Percentage deelnemers per niveau van ernst van MMN zoals beoordeeld door de algemene indruk van ernst door de patiënt (PGIS)

Waarden van arbeidsgerelateerde en huishoudelijke activiteiten van de vragenlijst over gezondheidsgerelateerde productiviteit (HRPQ) bij elk bezoek:

Verloren uren door afwezigheid

Verloren uren door presenteïsme

Totaal aantal verloren uren

Percentage geplande verloren uren door afwezigheid

Percentage geplande verloren uren door presenteïsme

Percentage totaal geplande verloren uren

Serumconcentraties van FK-parameters voor ARGX117

Waarden en verandering in vrije C2, totale C2 en functionele complementactiviteit (CH50) na verloop van tijd vanaf de baseline

Incidentie en prevalentie van antilichamen tegen het geneesmiddel (anti-drug antibodies, ADA's) tegen ARGX117

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit uitbreidingsonderzoek op lange termijn dient ter evaluatie van de veiligheid en doeltreffendheid van ARGX117 op lange termijn bij volwassenen met multifocale motorische neuropathie (MMN).

MMN is een zeldzame neuropathie gekenmerkt door progressieve asymmetrische zwakte en atrofie zonder sensorische afwijkingen.

Patiënten met MMN reageren in het begin op de standaardzorg (standard of care, SoC), intraveneus immunoglobine (IVIg), maar ondanks behandeling blijft de ziekte echter verergeren. Er is een on vervulde medische behoefte aan een doeltreffende behandelingsoptie met een gunstiger veiligheids- en verdraagbaarheidsprofiel en een kortere toedieningsduur dan de huidige SoC.

ARGX-117, een therapeutisch complementremmend antilichaam dat zich richt op complementfactor (C2), wordt ontwikkeld om weefselontsteking te verminderen en de adaptieve immuunrespons te verzwakken door zowel de lectine- en klassieke complementpaden te blokkeren.

Deelnemers aan dit uitbreidingsonderzoek op lange termijn zullen overgaan van het voorafgaande onderzoek, ARGX1172002, dat de veiligheid en verdraagbaarheid, doeltreffendheid, farmacokinetiek (FK), farmacodynamiek (FD) en immunogeniciteit evalueerde van 3 dosisregimes intraveneus toegediende (i.v.) ARGX-117 bij volwassen deelnemers met MMN, eerder gestabiliseerd met IVIg.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-507052-69-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Het evalueren van de veiligheid en verdraagbaarheid van ARGX-117 op lange termijn bij volwassen deelnemers met MMN

Onderzoeksopzet

Dit onderzoek is een uitbreiding van het voorafgaande onderzoek ARGX-117-2002. Het is een multicentrisch onderzoek ontworpen om de veiligheid en verdraagbaarheid, doeltreffendheid, immunogeniciteit, FK en FD van i.v. ARGX-117 op lange termijn te evalueren bij volwassenen met MMN. Dit onderzoek omvat een dubbelblinde overgangsperiode van de behandeling (double-blinded rollover treatment period, DTP), een open-label behandelingsperiode (open-label treatment period, OTP) en een opvolgingsperiode voor de veiligheid.

De onderzoeker, deelnemers en het onderzoeksteam van de opdrachtgever (met uitzondering van het bevoorradingssteam voor klinische onderzoeken van de opdrachtgever) worden tijdens de DTP geblindeerd voor het onderzoeksmiddel (investigational medicinal product, IMP) en gedeblindeerd tijdens de OTP.

Onderzoeksproduct en/of interventie

IMP toegediend via infuus. Zie ook de ARDA studie.

Inschatting van belasting en risico

1 ernstige bijwerking , 'abces' niet gerlateerd aan IMP

Er zijn geen SAE's gemeld, gerelateerd aan de geblindeerde behandeling.

Er zijn geen sterfte gevallen of levensbedreigende gebeurtenissen

Zie ook safety profile in IB

Contactpersonen

Publiek

argenx BV

Industriepark Zwijnaarde 7 -
Zwijnaarde (Ghent) B-9052
BE

Wetenschappelijk

argenx BV

Industriepark Zwijnaarde 7 -
Zwijnaarde (Ghent) B-9052
BE

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Deelnemers komen alleen in aanmerking voor deelname aan het onderzoek als aan

elk van de volgende criteria wordt voldaan:

1. Geïnformeerde toestemming kunnen geven, en zich aan de protocolvereisten houden. Deelnemers moeten kunnen lezen en schrijven.
2. Moet de dubbelblinde behandelingsperiode van het ARGX-117-2002 onderzoek voltooid hebben en geschikt bevonden zijn voor behandeling met ARGX-117
3. Gaat akkoord om anticonceptiemethoden te gebruiken overeenkomstig de plaatselijke voorschriften en het volgende:
 - a. Mannelijke deelnemers: moeten acceptabele anticonceptiemethoden gebruiken tijdens de studie tot minimaal 15 maanden na laatst x innemen van de studiemedicatie.
 - b. Vrouwelijke deelnemers (vrouwen) van vruchtbare leeftijd moeten een negatieve zwangerschapstest op urine hebben bij de baseline vóór IMP kan worden toegediend.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Deelnemers mogen niet deelnemen aan het onderzoek als de volgende criteria van toepassing zijn:

1. Klinisch significante ongecontroleerde actieve of chronische bacteriële, virale of schimmelinfectie
2. Klinisch bewijs van andere aanzienlijk ernstige ziekten, recent een grote operatie gehad hebben of een andere aandoening hebben die naar het oordeel van de onderzoeker de resultaten van het onderzoek zou kunnen verwarren of de deelnemer voor onnodig risico zou kunnen stellen.
3. Momenteel deelnemen aan een ander interventioneel klinisch onderzoek
4. Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven of die van plan zijn om tijdens het onderzoek of binnen 15 maanden na de laatste dosis IMP zwanger te worden.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	18-01-2024
Aantal proefpersonen:	4
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	ARGX-117-IV
Generieke naam:	ARGX-117-IV

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-09-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-12-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-02-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	09-03-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-06-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-06-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-07-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-07-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)

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	CTIS2023-507052-69-00
EudraCT	EUCTR2021-004998-32-NL

Register

CCMO

ID

NL82342.028.22