

Een open-label fase-3 extensieonderzoek van COURAGE-ALS (CY 5031)

Gepubliceerd: 12-10-2022 Laatste bijgewerkt: 07-04-2024

Beoordeling van de veiligheid en verdraagbaarheid op lange termijn van reldesemtiv bij patiënten met ALS

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Neuromusculaire aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON53955

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CY5032

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

ALS, Amyotrofische Lateraal Sclerose

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Cytokinetics

Overige ondersteuning: Cytokinetics Inc

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ALs, Amyotrofische lateraal sclerose, reldesemtiv

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De incidentie van ongewenste voorvallen (AE*s) in de patiëntenpopulatie

Secundaire uitkomstmaten

- Tijd tot het eerste optreden van ademhalingsinsufficiëntie (gedefinieerd als aanleggen van een tracheostoma om welke reden dan ook of toepassen van niet-invasieve beademing (NIV) ≥ 22 uur per dag gedurende ≥ 10 opeenvolgende dagen) of overlijden vanaf de datum van randomisatie in CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032
- Tijd tot de eerste ziekenhuisopname vanaf dag 1 in CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032
- Gecombineerde beoordeling van verandering in de totale ALSFRS-R-score, tijd tot aanvang van ademhalingsinsufficiëntie en overlevingsduur vanaf baseline van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032 en vanaf week 24 van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032
- Veranderingen in de totale score op de functiebeoordelingsschaal voor ALS (Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale-Revised, ALSFRS-R) vanaf baseline van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032 en vanaf week 24 van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032
- Snelheid van de veranderingen in de totale ALSFRS-R-score (ALSFRS-R-helling) vanaf baseline van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032 en vanaf week 24 van CY 5031 tot en met week 48 van CY 5032.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Reldesemtiv, een snelleskeletspiertroponineactivator, wordt onderzocht als potentiële behandeling om de afname van de skeletspierfunctie bij patiënten met ALS te vertragen. Patiënten die het klinische fase 3-onderzoek (COURAGE-ALS [CY 5031]) naar reldesemtiv bij patiënten met ALS hebben afgerond, kunnen doorgaan met de behandeling met reldesemtiv in het open-label extensieonderzoek (OLE), CY 5032. Tijdens de laatste 24 weken van toediening in CY 5031 krijgen alle patiënten open-label reldesemtiv. Daardoor is al aangetoond dat reldesemtiv aanvaardbaar verdragen wordt door alle patiënten die in aanmerking komen voor en ook deelnemen aan CY 5032 op het moment dat de toediening begint. Het OLE stelt patiënten in staat om het gebruik van reldesemtiv voort te zetten na afronding van CY 5031.

Doel van het onderzoek

Beoordeling van de veiligheid en verdraagbaarheid op lange termijn van reldesemtiv bij patiënten met ALS

Onderzoeksopzet

Open-label fase-3 onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

tweemaal daags 300 mg reldesemtiv.

Inschatting van belasting en risico

2x lichamelijk onderzoek
2x neurologisch onderzoek
6x bloed- en urineonderzoek
14x afnemen van vragenlijsten

Contactpersonen

Publiek

Cytokinetics

Oyster Point Blvd 350
San Francisco CA 94080
US

Wetenschappelijk

Cytokinetics

Oyster Point Blvd 350
San Francisco CA 94080
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- In staat zijn om een formulier voor geïnformeerde toestemming (ICF) te begrijpen en bereid zijn dit te ondertekenen. Als de patiënt wilsbekwaam is, maar de toestemming niet op schrift is gegeven, dient een onafhankelijke getuige het toestemmingsformulier te ondertekenen.
- Voltooide toediening in CY 5031

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Heeft vóór de eerste toediening een ander onderzoeksgeneesmiddel dan reldesemtiv ingenomen; dit geldt voor de periode van 30 dagen daarvoor of vijfmaal de halfwaardetijd van het voorgaande middel, naar gelang welke van beide langer is.

Wanneer tijdens de studie de lever en/of nierfunctie tests stijgen tot boven 3x bovenste limiet van normaal wordt de inname van de medicatie permanent gestopt.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	27-02-2023
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	nvt
Generieke naam:	reldesemtiv

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-10-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-01-2023
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-03-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec

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	EUCTR2021-004727-33-NL
CCMO	NL81821.041.22
Ander register	www.clinicaltrials.gov