

Een open-label, multicenter, multinationalaal uitbreidingsonderzoek naar de veiligheid op lange termijn en de farmacokinetiek van herhaalde veertiendaagse infusies met neoGAA bij patiënten met de ziekte van Pompe

Gepubliceerd: 16-07-2014 Laatst bijgewerkt: 21-04-2024

In dit onderzoek willen we de farmacokinetiek en de veiligheid op de lange termijn van neoGAA bij patiënten met de ziekte van Pompe.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Aangeboren metabolismestoornissen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON55395

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

NEO1 extensie

Aandoening

- Aangeboren metabolismestoornissen

Synoniemen aandoening

de ziekte van Pompe

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Genzyme Europe BV

Overige ondersteuning: Genzyme Europe B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: extensie studie, neoGAA, veiligheid op de langere termijn, ziekte van Pompe

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Evaluatie van de veiligheid van neoGAA op de lange termijn

Secundaire uitkomstmaten

Evaluatie van farmacokinetiek van neoGAA bij patiënten met de ziekte van Pompe. Evaluatie van ECG, immunogeniciteit bepalingen, bepaling hoeveelheid glycogeen in de skeletspieren, Hex4 in de urine, circulerend mRNA en micro RNA in het plasma, RNA expressie in de skeletspieren.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Pompe is een zeldzame erfelijke ziekte die veroorzaakt wordt door de deficientie van het enzym α -glucosidase. Normaal gezien zet dit enzym als glycogeen opgeslagen suiker om in glucose die door de lichaamscellen kan worden gebruikt voor energie. Als het enzym ontbreekt, hoopt glycogeen zich op in bepaalde weefsels, vooral in de spieren, waaronder het hart en het diafragma (de belangrijkste ademhalingsspier onder de longen). De gestage ophoping van glycogeen veroorzaakt uiteenlopende symptomen, zoals een vergroot hart, ademhalingsmoeilijkheden en spierzwakte. De ziekte kan zich bij de geboorte manifesteren (de infantiele vorm), maar ook later in het leven (de late vorm). NeoGAA is een aangepaste vorm van α -glucosidase alfa (Myozyme®) en bevat de actieve stof recombinant humaan α -glucosidase. NeoGAA is een enzymvervangingstherapie. Het is een vorm van het op natuurlijke wijze voorkomende enzym (GAA) waar patiënten met de ziekte van Pompe een tekort aan hebben

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek willen we de pharmacokinetiek en de veiligheid op de lange termijn van neoGAA bij patiënten met de ziekte van Pompe.

Onderzoeksopzet

Dit is een open-label, multi-center, internationaal onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

Tweewekelijks intraveneus infuus met neoGAA: dosering is gelijk aan de dosering die de patiënt heeft ontvangen in de TDR12857 studie. In NL is dat voor beide patiënten 10 mg/kg neoGAA. Het protocol amendement 3 is gebaseerd op de resultaten van de NEO-1 studie. Hierdoor worden alle patienten overgezet naar 20 mg/kg indien zij deze dosering kunnen verdragen.

Inschatting van belasting en risico

Risico's - Functionele tests: kans op vallen, buiten adem raken, spierpijn, vermoeidheid - Bloedafnames: onprettig gevoel op moment van de afname, het ontstaan van een blauwe plek, bloeden, infecties, flauwvallen en anemie. - Biopsie: zere plek, infectie, bloeden, blauwe plek en littekenvorming op de plek waar de biopsie is afgenomen - MRI: claustrofobie - Medicatietoediening: Er is nog geen ervaring met neoGAA. De verwachting is dat de bijwerkingen gelijk zijn aan Myozyme. Ongeveer een derde van de volwassen patiënten met de ziekte van Pompe krijgt infusiereacties tijdens of enkele uren na toediening van het onderzoeksgeneesmiddel. Het merendeel van de reacties werd aangemerkt als mild tot matig en verdween spontaan. De meest voorkomende infusiereacties zijn: hoofdpijn, misselijkheid, duizeligheid, galbulten, uitslag, onaangenaam gevoel op de borst, braken, zweten, blozen (rood in het gezicht) en verhoogde bloeddruk. Ernstige allergische reacties komen zelden voor en kunnen zich manifesteren als moeite met ademen, een opgezette keel, zwelling van gezicht, lippen of tong, een significante daling van de bloeddruk en galbulten of uitslag.

Contactpersonen

Publiek

Genzyme Europe BV

Paasheuvelweg 25

Amsterdam 1105BP
NL

Wetenschappelijk

Genzyme Europe BV

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105BP
NL

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)

Patiënten met de ziekte van Pompe en die de TDR12857 studie volledig hebben afgerond

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- *De patiënt neemt deel aan een ander klinisch onderzoek met een ander onderzoeksproduct
- *De patiënt is niet in staat om zich te houden aan de voorwaarden van de studie in de opinie van de onderzoeker
- *De patiënt heeft een klinisch significante organische ziekte (muv symptomen gerelateerd aan de ziekte van Pompe). Inclusief klinisch significant, cardiovasculaire, hepatische, pulmonaire, neurologische of nierziekten, of een andere medische conditie, ernstige bijkomende ziekte of andere verzachtende

omstandigheden, dat naar de mening van de onderzoeker deelname aan de studie is uitgesloten of de overleving van de patiënt verkort.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	30-09-2014
Aantal proefpersonen:	2
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	n.v.t.
Generieke naam:	avalglucosidase alfa

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-07-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-09-2014

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	24-10-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	03-11-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	30-01-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	04-02-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	21-08-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	16-09-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	18-02-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-03-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-03-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-07-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-07-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-09-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-09-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-04-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-06-2017
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-06-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-06-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-05-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-07-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-06-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	25-06-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-07-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-07-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-12-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-02-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-03-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-12-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-12-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

(Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-03-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 21-04-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 07-10-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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	EUCTR2013-003321-28-NL
ClinicalTrials.gov	NCT02032524
CCMO	NL49423.078.14

Resultaten

Datum resultaten gemeld: 11-10-2023

Datum eerste publicatie onderzoek
06-06-2023