

Een gerandomiseerd, dubbelblind, placebogecontroleerd onderzoek, gevolgd door een verlengingsonderzoek, ter beoordeling van de werkzaamheid en veiligheid van alirocumab in kinderen en adolescenten met heterozygote familiale hypercholesterolemie.

Gepubliceerd: 11-06-2018 Laatste bijgewerkt: 10-01-2025

Primair doel: Het onderzoeken van de werkzaamheid van alirocumab versus placebo op LDL-C waarde na een behandeling van 24 weken in kinderen met heterozygote familiale hypercholesterolemie in de leeftijd van 8 t/m 17 jaar op een optimale...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Overige aandoening
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON55709

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Alirocumab bij kinderen met heterozygote familiale hypercholesterolemie

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

Heterozygote familiale hypercholesterolemie, hoog cholesterol

Aandoening

Familiaire hypercholesterolemie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Genzyme Europe BV

Overige ondersteuning: Genzyme Europe B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Alirocumab, Familiaire hypercholesterolemie, Kinderen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Procentueel verschil in berekend LDL-C van baseline t/m week 24.

Secundaire uitkomstmaten

- Procentueel verschil in LDL-C
- Procentueel verschil in Apo B
- Procentueel verschil in non-HDL-C
- Procentueel verschil in Total-C
- Percentage van deelnemers die een berekende LCL-C waarde van < 3.37 mmol/L hebben bereikt
- Percentage van deelnemers die een berekende LCL-C waarde van < 2.84 mmol/L hebben bereikt
- Procentueel verschil in Lipoproteïn (a)
- Procentueel verschil in HDL-C
- Procentueel verschil in triglyceriden (TG)

- Aantal deelnemers met adverse events
- Cognitie (Cogstate test)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Familiaire hypercholesterolemie (FH) is een overerfbare lipiden-aandoening, gekarakteriseerd door ernstig verhoogde LDL-C waarden dat leidt tot premature atherosclerose en cardiovasculaire aandoeningen. Van FH is bekend dat het belangrijke cardiovasculaire consequenties heeft, welke al op kinderleeftijd beginnen. Om effectief te zijn in de preventie van hart-en-vaatziekten, zal de preventie heel vroeg moeten starten ruim voordat de symptomen er zijn.

Alirocumab is een antilichaam dat aangrijpt op een specifiek eiwit (PCSK9) welke leidt tot een vermindering van het aantal receptoren op de levercel dat LDL cholesterol verwijderd uit het bloed. Doordat het PCSK9 wordt geblokkeerd zullen er meer receptoren beschikbaar zijn om het LDL cholesterol uit het bloed te kunnen halen, wat leidt tot lagere LDL cholesterol waarden.

Dit onderzoek is opgezet om de effectiviteit en veiligheid van alirocumab te onderzoeken in kinderen met heterozygote familiale hypercholesterolemie.

Doel van het onderzoek

Primair doel: Het onderzoeken van de werkzaamheid van alirocumab versus placebo op LDL-C waarde na een behandeling van 24 weken in kinderen met heterozygote familiale hypercholesterolemie in de leeftijd van 8 t/m 17 jaar op een optimale lipidenverlagende behandeling.

Secundaire doelen:

- Onderzoeken van de effecten van alirocumab versus placebo op LDL-C.
- Onderzoeken van de effecten van alirocumab versus placebo op andere lipidenparameters.
- Onderzoeken van de veiligheid en verdraagbaarheid van alirocumab versus placebo
- Onderzoeken van de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van alirocumab na het open-label verlengingsonderzoek
- Onderzoeken van antilichamen tegen alirocumab

Onderzoeksopzet

Fase 3, geblindeerd, placebogecontroleerd onderzoek gevolgd door een open-label verlengingsonderzoek.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alirocumab 40, 75 of 150 mg/ml or placebo SC Q2W Alirocumab 75, 150 of 300 mg/ml or placebo SC Q4W

Inschatting van belasting en risico

Risico's gerelateerd aan bloedafname, onderzoeksprocedures en eventuele bijwerkingen van het onderzoeksmiddel.

Contactpersonen

Publiek

Genzyme Europe BV

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105 BP
NL

Wetenschappelijk

Genzyme Europe BV

Paasheuvelweg 25
Amsterdam 1105 BP
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Kinderen (jongens en meisjes) in de leeftijd van 8 tot 17 jaar ten tijde van het tekenen van het informed consent
- Patiënten met een diagnose van heterozygote familiale hypercholesterolemie door genotypering of klinische criteria.
- Patiënten behandeld met een optimale dosis statines met of zonder ander(e) lipideverlagend(e) middel(en) (of niet statine lipidenverlagend(e) middel(en) als de patiënt statine intolerant is), bij een stabiele dosis van minimaal 4 weken voorafgaand aan de screening visite.
- Patiënten met een berekende LDL-C groter of gelijk aan 3.37 mmol/L bij de screening visite, behalve patiënten die hebben deelgenomen in de DFI14223 studie.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Gewicht < 25 kg
- Patiënten in de leeftijd van 8 of 9 jaar niet in Tanner stadium 1 zijn en patiënten van 10 tot 17 jaar niet in Tanner stadium 2.
- Secundaire hyperlipidemie in de voorgeschiedenis
- Homozygote familiale hypercholesterolemie in de voorgeschiedenis
- Patiënten die een lipiden aferese behandeling hebben ondergaan binnen 2 maanden voorafgaand aan de screeningsperiode, of die deze behandeling gaan krijgen gedurende de studie
- Diabetes type 1 of 2 in de voorgeschiedenis.
- Schildklieraandoeningen in de voorgeschiedenis
- Hypertensie in de voorgeschiedenis
- Nuchtere triglyceriden groter dan 3.95 mmol/L bij de screeningsvisite.
- Ernstige nierfunctiestoornissen (bv, eGFR <30 mL/min/1.73 m² bij screeningsvisite)
- ALT of AST >2 ULN
- CPK >3 x ULN

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	06-02-2019
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Praluent
Generieke naam:	alirocumab
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-06-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-09-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-10-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-11-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-01-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	

Datum:	10-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-04-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-12-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-12-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-03-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-03-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-12-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-12-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-02-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	

Datum:	16-02-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-03-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-04-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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
Ander register	2017-001903-60
EudraCT	EUCTR2017-001903-60-NL
CCMO	NL65553.018.18

Resultaten

Einddatum onderzoek:	05-08-2022
Datum resultaten gemeld:	07-02-2023

Datum eerste publicatie onderzoek
05-12-2022