

Een open-label uitbreidingsonderzoek van ARGX-113*2009 om de veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid te onderzoeken van efgartigimod PH20 SC op de lange termijn, bij volwassen deelnemers met bulleus pemfigoïd.

Gepubliceerd: 23-01-2023 Laatste bijgewerkt: 30-01-2025

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-515832-59-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Om de veiligheid en verdraagbaarheid op lange termijn van behandeling met efgartigimod PH20 SC te beoordelen bij deelnemers met...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON56108

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

BALLAD+

Aandoening

- Auto-immuunziekten
- Huid- en onderhuidswaefsel-aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

bulleus pemfigoïd

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: argenx BV

Overige ondersteuning: industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bulleus pemfigoid, efgartigimod, Huidziekte, verlengd

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het beoordelen van de langetermijn veiligheid en verdraagbaarheid van behandeling met efgartigimod PH20 SC bij deelnemers met BP

Secundaire uitkomstmaten

Om de werkzaamheid en duurzaamheid van de respons op lange termijn met efgartigimod PH20 SC-behandeling bij deelnemers met BP te beoordelen:

- Het aantal deelnemers dat het volgende bereikt:
 - * Volledige remissie (CR) bereiken en gedurende ≥ 8 weken geen orale corticosteroïden (OCS) meer gebruiken
 - * CR of gedeeltelijke remissie (PR) bereiken en ≥ 8 weken geen OCS-therapie meer hebben ondergaan
 - * CR bereiken en gedurende ≥ 8 weken op minimale OCS-therapie zijn geweest.
(Minimale OCS-therapie wordt gedefinieerd als $\leq 0,1$ mg/kg prednison per dag [of een equivalente dosis van een andere OCS])
 - * Zijn in CR en zijn ≥ 8 weken van zowel OCS als efgartigimod PH20 SC af geweest
 - * Zijn in CR of PR en zijn zowel OCS als efgartigimod PH20 SC gedurende ≥ 8

weken gestopt

- Duur van aanhoudende remissie
- Percentage deelnemers dat terugvalt
- Tijd om terug te vallen
- Incidentie en ernst van terugval
- Bullous Pemphigoid Disease Area Index (BPDAI) activiteitsscores, Investigator

Global Assessment of Bullous Pemphigoid (IGA-BP) scores en jeuk numerieke beoordelingsschaal (NRS) in de loop van de tijd

- Percentage stopzetting van de behandeling vanwege bezorgdheid over de werkzaamheid

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

BP is een subepidermale auto-immuun blaarziekte die vooral oudere volwassenen treft. Het is een chronische ziekte die de morbiditeit en kwaliteit van leven aanzienlijk beïnvloedt; bovendien kan de ziekte spontaan verergeren, zelfs als de patiënt wordt behandeld met de huidige zorgstandaard. De pathogenese van BP wordt aangestuurd door IgG- en IgE-auto-antilichamen tegen de hemidesmosomale eiwitten BP180 en BP230, die fungeren als sleutelantigenen voor pathogene auto-antilichamen.

De huidige zorgstandaard voor BP is behandeling met TCS of OCS, die beide kunnen worden gecombineerd met conventionele immunosuppressieve therapie. Helaas veroorzaakt behandeling met corticosteroïden bij patiënten met BP doorgaans comorbiditeiten, die ernstig en zelfs levensbedreigend kunnen zijn, vooral bij oudere volwassenen.

Samengevat, er is momenteel een on vervulde medische behoefte aan nieuwe BP-behandelingen die snelle CDA en remissie bieden, terugval minimaliseren (of zelfs voorkomen) en de belasting van patiënten verminderen die wordt veroorzaakt door cumulatieve blootstelling aan corticosteroïden. Deze OLE-studie heeft tot doel de veiligheid, verdraagbaarheid, werkzaamheid op lange termijn, immunogeniciteit, PRO-metingen en PD van efgartigimod PH20 SC te

evalueren bij volwassen deelnemers met BP, die de eerdere studie ARGX 113 2009 voltooiden.

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-515832-59-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Om de veiligheid en verdraagbaarheid op lange termijn van behandeling met efgartigimod PH20 SC te beoordelen bij deelnemers met BP

Onderzoeksopzet

Dit is een fase 3, prospectief, wereldwijd, multicenter, OLE-onderzoek om de veiligheid, verdraagbaarheid, werkzaamheid, kwaliteit van leven (QoL), farmacodynamiek (PD) en immunogeniciteit van efgartigimod PH20 SC op lange termijn te onderzoeken bij volwassen deelnemers met BP die hebben ARGX-113-2009 voltooid. Alle deelnemers die het einde van de behandelingsperiode (EoTP) bezoeken in week 36 in ARGX 113 2009 zullen worden uitgenodigd om zich in te schrijven. Het onderzoek zal worden uitgevoerd op dezelfde locaties als ARGX 113 2009.

In ARGX-113-2009 kregen deelnemers efgartigimod PH20 SC of placebo met gelijktijdige OCS, of reddingstherapie (gedefinieerd als gelijktijdige BP-therapie in dit protocol). Afhankelijk van hun klinische status op het moment van rollover, kunnen deelnemers worden behandeld met efgartigimod PH20 SC en kunnen deelnemers die tijdens het onderzoek terugvallen ook worden behandeld met efgartigimod PH20 SC.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Bij rollover zullen deelnemers worden behandeld met efgartigimod PH20 SC volgens hun klinische status tijdens het EoTP-bezoek van ARGX-113-2009. Een overzicht van de behandelinterventies is te vinden in Tabel 5 in het protocol op pagina 38 -41

Inschatting van belasting en risico

Er is momenteel een on vervulde medische behoefte aan nieuwe BP-behandelingen die snelle CDA en remissie bieden, terugval minimaliseren (of zelfs voorkomen) en de belasting van patiënten verminderen die worden veroorzaakt door cumulatieve blootstelling aan corticosteroïden. Deze OLE-studie heeft tot doel de veiligheid, verdraagbaarheid, werkzaamheid op lange termijn, immunogeniciteit, PRO-metingen en PD van efgartigimod PH20 SC te evalueren bij volwassen deelnemers met BP, die de eerdere studie ARGX 113 2009 voltooiden.

De gunstige balans tussen de risico's en de verwachte werkzaamheid/voordelen

ondersteunt de toediening van efgartigimod PH20 SC aan deelnemers met BP in ARGX-113-2010.

Meer gedetailleerde informatie over de bekende en verwachte voordelen en risico's van efgartigimod - zowel als een IV-formulering als als efgartigimod PH20 SC en redelijkerwijs te verwachten bijwerkingen zijn te vinden in de huidige IB.

Zie ook paragraaf 2.3 in het protocol voor gedetailleerde informatie over de baten- en risicobeoordeling.

Contactpersonen

Publiek

argenx BV

Industriepark Zwijnaarde 7
Zwijnaarde B-9052
BE

Wetenschappelijk

argenx BV

Industriepark Zwijnaarde 7
Zwijnaarde B-9052
BE

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)

1. week 36 afgerond van de argx-113-2009 studie
2. Geïnformeerde toestemming kunnen geven, en zich aan de protocolvereisten houden
3. Gaat akkoord om anticonceptiemethoden te gebruiken overeenkomstig de plaatselijke voorschriften en het volgende:
 - a. Mannelijke deelnemers: acceptabele anticonceptie is een condoom. Alle niet-gesteriliseerde mannen moeten dit gebruiken vanaf tekenen ICF tot en met laatste IP inname.Vrouwelijke deelnemers van vruchtbare leeftijd moeten een negatieve zwangerschapstest op urine hebben bij de baseline vóór IMP kan worden toegediend. Vrouwen moeten anticonceptie gebruiken zoals beschreven in protocol vanaf tekenen ICF tot en met laatste IP inname.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Klinisch bewijs van andere aanzienlijk ernstige ziekten, recent (binnen 3 maanden) een grote operatie gehad hebben of nog moet krijgen tijdens de studie. 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.
2. Bekende overgevoeligheid voor IMP of 1 van zijn hulpstoffen
3. IMP permanent stopgezet in ARGX-113-2009 vanwege een bijwerking die wordt beschouwd als gerelateerd aan IMP en voor wie de baten/risicoverhouding niet als positief wordt beschouwd

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland
Status: Beëindigd
(Verwachte) startdatum: 03-08-2023
Aantal proefpersonen: 2
Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Efgartigimod
Generieke naam: Efgartigimod

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 23-01-2023
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Brabant (Tilburg)

Goedgekeurd WMO
Datum: 25-04-2023
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Brabant (Tilburg)

Goedgekeurd WMO
Datum: 30-08-2023
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Brabant (Tilburg)

Goedgekeurd WMO
Datum: 13-09-2023
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Brabant (Tilburg)

Goedgekeurd WMO
Datum: 18-03-2024
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Brabant (Tilburg)

Goedgekeurd WMO

Datum:	04-04-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-06-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Brabant (Tilburg)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-07-2024
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	CTIS2024-515832-59-00
EudraCT	EUCTR2021-003063-10-NL
CCMO	NL83164.028.23