

Een abdominale beeldvormings-, substraat analyse en laboratoriumstaal afname substudie bij patiënten die hebben deelgenomen aan LAL-2-NH01

Gepubliceerd: 12-12-2012 Laatste bijgewerkt: 01-05-2024

Het doel van deze studie is om een beter inzicht te krijgen in het klinische fenotype van LAL deficiëntie. De gegevens uit de studie zullen gebruikt worden om het studiedesign van geplande klinische studies met SBC-102 af te stellen en om de...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON37869

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

LAL-2-NH01

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

Synoniemen aandoening

vetstapelingsziekte, Ziekte van Wolman

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Synageva Biopharma Corp

Overige ondersteuning: Synageva Biopharma

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cholesteryl Ester Stapelingsziekte, LAL-deficiëntie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Dit is een observationele studie, geen eindpunten als dusdanig gedefinieerd.

Secundaire uitkomstmaten

NVT

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Lysosomaal Zuur Deficiëntie (Engels LAL deficiency) is een zeer zeldzame lysosomale stapelingsziekte (LSD) die gekenmerkt wordt door het niet kunnen afbreken van cholesteryl esters and trygliceriden in lysosomen door een defect van het enzym. LAL deficiëntie is een multi-systeem ziekte dat het meest samenvalt met gastrointestinale, lever en cardiovasculaire complicaties en wordt geassocieerd met een significante morbiditeit and mortaliteit.

Tot op heden zijn er geen goedgekeurde therapieën om patiënten met LAL deficiëntie te behandelen.

Synageva BioPharma Corp. is bezig met de ontwikkelin van SBC-102, een enzymvervangende therapie, voor de behandeling van LAL deficiëntie.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is om een beter inzicht te krijgen in het klinische fenotype van LAL deficiëntie. De gegevens uit de studie zullen gebruikt worden om het studiedesign van geplande klinische studies met SBC-102 af te stellen en om de resultaten beter te kunnen interpreteren.

Onderzoeksopzet

De substudie is een niet-interventionele studie.

Tijdens de substudie, het prospectieve deel, zullen 2 MRI scans worden

afgenomen, alsmede 3 bloedstalen op verschillende tijdstippen.

Inschatting van belasting en risico

In de substudie zal de patiënt 2 MRI scans ondergaan, alsmede 3 bloedafnames (op verschillende tijdstippen).

Alle gegevens die tijdens de studie verzameld worden, kunnen ook bijdragen tot een beter inzicht in de ziekte van de patiënt en de behandeling mogelijk verbeteren.

Contactpersonen

Publiek

Synageva Biopharma Corp

Spring Street, Suite 520 128
Lexington (Massachusetts) MA 02421
US

Wetenschappelijk

Synageva Biopharma Corp

Spring Street, Suite 520 128
Lexington (Massachusetts) MA 02421
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)

- 8 jaar of ouder (enkel meerderjarige patiënten zullen worden ingesloten in NL)
- Geen medische aandoening die een MRI of MRS zou onmogelijk maken
- in staat zijn om het volledige doel van de studie te begrijpen
- Bevestiging LAL deficiëntie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Tegenindicaties voor MRI scans

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 08-01-2013

Aantal proefpersonen: 6

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-12-2012

Soort: Eerste indiening

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
CCMO	NL40229.018.12

Resultaten

Einddatum onderzoek: 10-01-2013

Totaal aantal deelnemers: 2

Samenvatting resultaten

Trial is ongoing in other countries