

Een fase 2b, dubbelblinde, placebogecontroleerde, multinationale, multicentrische, gerandomiseerde studie ter evaluatie van de veiligheid en werkzaamheid van de intracoronaire toediening van MYDICAR® (AAV1/SERCA2a) bij patiënten met hartfalen

Gepubliceerd: 20-09-2012 Laatste bijgewerkt: 26-04-2024

De primaire doelstelling bestaat erin de werkzaamheid te bepalen van één enkele intracoronaire toediening van 1 x 10E13 DRP MYDICAR® in combinatie met een optimaal HF behandelingschema bij patiënten met ischemische of niet-ischemische...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON39413

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CUPID fase 2b studie

Aandoening

- Falen van de hartfunctie

Synoniemen aandoening

Chronisch systolisch HF als gevolg van ischemische of gedilateerde cardiomyopathie -
Hartfalen

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Celladon Corporation
Overige ondersteuning: Celladon Corporation

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Hartfalen, Mydicar

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Tijd tot wederkerende gebeurtenissen (HF-gerelateerde hospitalisaties, ambulante verslechtering HF) in de aanwezigheid van terminale gebeurtenissen (zoals overlijden als gevolg van eender welke oorzaak, harttransplantatie of LVAD-implantatie).

Secundaire uitkomstmaten

Tijd tot een terminale gebeurtenis in de aanwezigheid van wederkerende gebeurtenissen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Celladon Corporation (Celladon) onderzoekt MYDICAR® (AAV1/SERCA2a) bij de behandeling van patiënten met matig tot ernstig hartfalen als gevolg van systolische dysfunctie. SERCA2a speelt een belangrijke rol in het handhaven van een normaal calcium metabolisme in hartspiercellen en de ontspanning en samentrekking van deze hartspiercellen. SERCA2a niveaus nemen af in alle vormen van laat stadium hartfalen (HF) met een verminderd vermogen van het hart om bloed te pompen als gevolg. In verschillende diermodellen van HF werd er aangetoond dat een stijging van het SERCA2a eiwit kan helpen om hartcontractie

en -functie te verbeteren. Celladon onderzoekt een vector genaamd AAV1/SERCA2a, of MYDICAR®, gebaseerd op een adeno-geassocieerde virus vector (AAV) dat het SERCA2a gen aflevert aan de hartcellen zodat het in staat is om hetzelfde eiwit te produceren als dat wat in normale, humane hartcellen gevonden wordt. MYDICAR® wordt met een eenmalige dosis toegediend via een procedure die gelijkend is aan een angiogram. AAV is een natuurlijk voorkomend virus dat niet geassocieerd is met ziekte bij de mens. Veel mensen werden besmet met het natuurlijk voorkomende type AAV zonder het te beseffen, omdat AAV geen ziekte veroorzaakt. . Hartfalen is een klinisch syndroom dat gedefinieerd wordt als een chronisch gebrekkige samentrekking van de hartspier, wat resulteert in onvoldoende bloedtoevoer naar het lichaam. HF leidt tot zo'n 280.000 doden per jaar. De meest voorkomende symptomen van HF zijn kortademigheid, vermoeidheid, opgezwollen enkels, voeten, benen en soms de buik. Er is geen behandeling. HF is een epidemie met wereldwijd een geschatte 23 miljoen patiënten. In de Verenigde Staten alleen al zijn bijna 6 miljoen patiënten met HF gediagnostiseerd en jaarlijks komen er nog eens 700.000 patiënten bij. In het Verenigd Koninkrijk zijn er naar schatting 900.000 mensen met HF en een vergelijkbaar aantal patiënten met beschadigde harten die geen symptomen vertonen. In de algemene bevolking varieert het wereldwijd voorkomen van HF van 2-3% wat verhoogt met de leeftijd tot 8,4 tot 13% bij personen van 75-84 jaar. In Noord-Amerika en Europa is het levenslange risico op het ontwikkelen van HF ongeveer een op de vijf voor een 40-jarige. Het voorkomen van HF blijkt te zijn gestegen na verloop van tijd als gevolg van de vergrijzing van de bevolking, een beter beheer van cardiovasculaire (CV) en niet-CV vaatziekten, en het vaker voorkomen van patiënten met voorlopers zoals hoge bloeddruk, diabetes, dyslipidemie en overgewicht in geïndustrialiseerde samenlevingen. Het vermoedelijke ziekteverloop is slecht. Op basis van de Framingham Heart Study, bedraagt het sterftecijfer na 30 dagen ongeveer 10%, na 1 jaar 20-30% en na 5 jaar 45-60%. Dezelfde slechte lange-termijn prognose wordt gemeld in Europa. De behandeling van HF is patiënt-specifiek en op basis van de onderliggende oorzaken, de aanwezigheid van andere aandoeningen, het stadium bij diagnose en de NYHA functionele classificatie. HF-patiënten worden ook over het algemeen onderverdeeld als patiënten met ofwel systolisch falen (verminderde pompfunctie) of als patiënten met diastolisch falen (hart kan niet meer ontspannen). De behandelingsdoelen zijn het verminderen van de symptomen, het verlengen van de overleving, het verbeteren van de kwaliteit van het leven en het vertragen of verhinderen van het ziekteverloop. Desondanks optimale medische therapie met behulp van een breed gamma aan farmacologische, toestel en chirurgisch-therapeutische opties, ervaren de meeste patiënten op lange termijn een geleidelijke verslechtering tot ernstig HF (ongevoelig voor optimale medische behandeling) en bezwijken ze uiteindelijk aan de ziekte of aan één van de onderliggende oorzaken. De jaarlijkse kosten van HF werd geschat op bijna \$ 40 miljard in de Verenigde Staten in 2010, waarvan de helft betrekking had tot herhaaldelijke ziekenhuisopnames. De 6-maanden heropname percentage voor congestief HF is bijna 50%. Desondanks de grote inspanningen om de ziekenhuisopnames voor HF te verminderen, zijn over het algemeen

n ziekenhuisopnames waarin HF wordt vermeld, verdrievoudigd van 1,3 miljoen in 1979 tot 3,9 miljoen in 2004. In het Verenigd Koninkrijk was HF goed voor 1 miljoen ligdagen in 2002 en er wordt verwacht dat dit met 50% zal verhogen in 2038 (grotendeels als gevolg van de vergrijzing van de bevolking). Zo dragen de frequente hospitalisaties door chronisch HF grotendeels bij tot de belasting op de volksgezondheid. Daarom zijn nieuwe behandelingen voor HF, welke gericht zijn op het verminderen van ziekenhuisopnames, dringend nodig.

Doel van het onderzoek

De primaire doelstelling bestaat erin de werkzaamheid te bepalen van één enkele intracoronaire toediening van 1 x 10E13 DRP MYDICAR® in combinatie met een optimaal HF behandelingsschema bij patiënten met ischemische of niet-ischemische cardiomyopathie (hartspierziekte) en matig tot ernstig symptomen van hartfalen door de frequentie van HF-gerelateerde hospitalisaties te verminderen en/of uit te stellen in vergelijking met patiënten die met een placebo werden behandeld. De secundaire doelstellingen bestaan uit een beoordeling van de veiligheid van MYDICAR® door het bepalen van wijzigingen in laboratoriumparameters en het jaarlijks voorkomen en de ernst van bijwerkingen. Bovendien zal een onafhankelijk bedrijf het gebruik van hulpbronnen, de gezondheid gerelateerde levenskwaliteit en de kosteneffectiviteit van MYDICAR® behandeling vergelijken met de *standard-of-care* behandeling.

Onderzoeksopzet

Dit is een fase 2b, multinationale, multicentrische, dubbelblinde, placebogecontroleerde, gerandomiseerde studie van één enkele intracoronaire toediening van 1 x 10E13 DRP van MYDICAR® in vergelijking met een placebo; in combinatie met een optimaal HF-behandelingsschema. Patiënten zullen parallel in twee groepen verdeeld worden met een verhouding van 1:1.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Een van de twee groepen krijgt éénmalig MYDICAR® intracoronair toegediend tijdens een coronaire angiografie. De tweede, controle groep krijgt een éénmalige intracoronaire toediening van placebo tijdens een coronaire angiografie.

Inschatting van belasting en risico

Patiënten zullen gescreend worden op de aanwezigheid van AAV neutraliserende antistoffen om vast te stellen of ze in aanmerking komen voor deelname. Op dag 0 ondergaan patiënten een hartkatheterisatie en angiografie, gevolgd door een infusie met het onderzoeksgeneesmiddel, tenzij dit gecontra-indiceerd is. Op maand 1, 3, 6, 9 en 12 ondergaan patiënten een reeks onderzoeken met betrekking tot veiligheid, werkzaamheid en economische aspecten. Deze *12 Maanden Actieve Observatieperiode* wordt gevolgd door driemaandelijke bezoeken (maand 15, 18,

21, 24, enz.) voor het verzamelen van informatie over klinische bijwerkingen en het gebruik van hulpbronnen. Deze *Periode van Lange Termijn Opvolging* blijft doorgaan totdat de laatst ingeschreven patiënt de *12 Maanden Actieve Observatieperiode* afrondt en er ten minste 180 beoordeelde HF-gerelateerde hospitalisaties hebben plaatsgevonden (afhankelijk van wat zich het laatste voordoet). Dit tijds punt wordt dan gedefinieerd als het *Einde van de Studie*. Als een patiënt zijn/haar deelname aan de *12 Maanden Actieve Observatieperiode* beëindigd of stopgezet, wordt hij of zij tot aan het *Einde van de Studie* in de *Periode van Lange Termijn Opvolging* opgenomen voor het verzamelen van informatie over klinische bijwerkingen. Alle patiënten worden gedurende minimaal 24 maanden geobserveerd en opgevolgd. Deze periode van 24 maanden omvat de *12 Maanden Actieve Observatieperiode* plus het aantal maanden in de *Periode van Lange Termijn Opvolging*.

De volgende onderzoeken zullen in studie-verband uitgevoerd worden:

* Fysiek onderzoek van het lichaam, bepaling van temperatuur, gewicht, lengte, hartslag en ademhalingsfrequentie. De medische voorgeschiedenis en het fysiek onderzoek zullen deel uitmaken van iedere visite.

* Bloedafname: 8x

* Urinetest: 7x

* Coronaire angiografie (inclusief toediening van MYDICAR® of placebo en IV nitroglycerine): 1x

* Röntgenfoto van de borst: 1x

* Dagopname en telemetrie (dag van de angiografie): 1x

* ECG: 7x

* Vragenlijsten: 14x

* Echo-cardio: 1x

* 6-minuten looptest: 5x

MYDICAR® wordt toegediend via een antegrade, epicardiale, coronaire infusie met behulp van de B Braun Perfusor® Space Spuitpomp. Potentiële procedure gerelateerde gebeurtenissen zijn gelijk aan deze welke geassocieerd zijn met standaard coronaire interventie procedures. Het is onwaarschijnlijk dat rAAV1 capside eiwitten en het SERCA2a gen bijwerkingen veroorzaken.

Deze ongewenste voorvallen, in volgorde van voorkomen (meest tot minst), kwamen het vaakst voor (* 5%): ventriculaire tachycardie (een abnormaal hartritme); laag kaliumniveau in het bloed; te veel vloeistof in het bloed; neusverstopping; lage bloeddruk; ventriculaire fibrillatie (een abnormaal hartritme); vallen; laag natriumgehalte in het bloed; spierkrampen en plotselinge onvrijwillige samentrekkingen van een spier; afname van nierfunctie; kortademigheid; kortademigheid bij inspanningen; klikkende, ratelende of krakende geluiden in de longen; aritmie (een abnormaal hartritme); cardiogene shock (het hart kan niet doeltreffend pompen); abnormale manier van lopen; herpes; virale infectie; griep; oogletsel; verhoogd bilirubinegehalte (wat kan wijzen op leverschade of een bloedafwijking); verhoogde creatinefosfokinase (wat kan wijzen op een afbraak van spieren); pijn in de lies; bewustzijnsverlies; productieve hoest; neusbloedingen en blauwe plekken.

De volgende bijwerkingen kwamen minder vaak (3%) voor: pijn op de borst, abnormale hartritmes, hart- en nierfalen, bloedklontertjes in het hart, cardiaal aneurysma (verdunding, uitrekking of uitzakking van de hartwand), hartkloppingen (overgeslagen hartslag of snel kloppen van het hart), opgeblazen gevoel of verhoogde druk in de buik, buikpijn, ophoping van vocht in de onderbuik, buikongemakken, maagzweer, bloedende maagzweer, bloed in de stoelgang, ontsteking van de alvleesklier, geelzucht, schimmelinfectie, huidinfectie, katheter gerelateerde infectie, infectie in de buik met bacteriën die maagzweren veroorzaken, herpes, longontsteking, infectie van de bovenste luchtwegen (infectie van neus, keel en longen), extreem gewichtsverlies, eetlustverlies, uitdroging, diabetes, waterophoping, hoog gehalte van lipiden(vetten)/cholesterol in het bloed, botstoornissen en bursitis (opzwellen van het met vloeistof gevulde zakje dat zich tussen een pees en de huid of het bot bevindt), ongecontroleerde trillingen van de pols, beroerte, verminderde hersenfunctie doordat de lever niet goed werkt, verminderde tastzin, neurologische symptomen, ongecontroleerde oogbewegingen, rusteloze benen syndroom, duizeligheid, mini-beroerte, alcoholisme, klemmende of schurende tanden, mentale statuswijzigingen, slaapwandelen, nierfalen, astma; chronisch obstructieve pulmonaire aandoening (vernauwing van de luchtwegen, wat leidt tot een beperkte luchtstroom van en naar de longen en kortademigheid veroorzaakt), bloed ophoesten uit de longen, ruwe of pijnlijke keel, onvoldoende ademhaling, slaapapneu (pauzes in het ademen tijdens de slaap), onderhuidse bloedingen, huidzweren, Stevens Johnson Syndroom, bloedklontertjes in een diepliggende ader, hoge bloeddruk, vloeistof rond een teelbal, wazig zicht, bloed dat uit het bloedvat lekt naar het omliggende weefsel, zenuwachtig gevoel, zwelling op de plaats van de injectie (toediening) of de plaats waar de katheter werd ingebracht, zwelling van handen en voeten, plotseling overlijden, bloedklontertjes op de plaats van injectie of bloedafname, hoofdletsel, mondletsel, uitscheiding uit de plaats van injectie, peesletsel, bepaalde abnormale bloedtesten (verhoogd urinezuur, wat kan wijzen op artritis of jicht; verhoogde bloedstollingstijd; toename in volume van rode bloedcellen, wat kan wijzen op een soort anemie; toename van Prostaat Specifiek Antigen (PSA), wat kan wijzen op ontsteking of kanker van de prostaat bij mannen; toename van leverenzymen wat kan wijzen op leverschade, en vermindering van vitamine D), gewichtstoename, borststoornis, borstontwikkeling bij mannen en vergrote of verdraaide aders in het scrotum.

Contactpersonen

Publiek

Celladon Corporation

12760 High Bluff Drive STE 240

San Diego CA 92130-2019
US

Wetenschappelijk

Celladon Corporation

12760 High Bluff Drive STE 240
San Diego CA 92130-2019
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)

1. Negatieve neutraliserende AAV1-antistoffen (NAb) (titer <1:2 of twijfelachtig) binnen 90 dagen vóór de screening.
2. Leeftijd van 18 tot en met 80 jaar ten tijde van de ondertekening van de geïnformeerde toestemming.;
3. Chronisch systolisch HF als gevolg van ischemische of niet-ischemische gedilateerde cardiomyopathie. Patiënten met ischemische cardiomyopathie moeten ten minste één grote kransslagader hebben met een bloeddorstroming van TIMI-graad 3. Als een patiënt de afgelopen 2 maanden geen coronaire angiografie heeft ondergaan, kan dit criterium worden beoordeeld nadat de patiënt is gerandomiseerd en angiografie ondergaat net vóór de geplande infusie met het onderzoeksgeneesmiddel.
 - a. Hypertrofische cardiomyopathie is uitgesloten.
 - b. Toxische en alcoholische cardiomyopathiën zijn toegestaan zolang toxine en alcohol bloedstelling geelimineerd zijn en er voldoende tijd voorbij gegaan is om spontaan herstel uit te sluiten.
4. Linker ventriculaire ejectiefractie (LVEF) $\geq 35\%$ op eender welk moment tijdens de 60 dagen vóór de toediening van het onderzoeksgeneesmiddel. ;
5. Diagnose van HF NYHA-klasse

II/III/IV gedurende minimaal 90 dagen vóór de screening. ;6. Individuele, maximale, geoptimaliseerde HF-therapie consistent met de praktijkrichtlijnen van het American College of Cardiology/de American Heart Association en de European Society of Cardiology voor de behandeling van chronisch hartfalen (ACC-/AHA-/ESC HF-richtlijnen) en regelmatige updates;;a. Geneesmiddelentherapie aangepast aan het individu, waaronder orale diuretica, ACE-remmer (angiotensine converterend enzym) (of angiotensine receptorblokker (ARB) indien ACE-intolerant) en, indien getolereerd, bètablokker in goedgekeurde doses zoals vermeld in de respectieve bijsluiter. De keuze van de bètablokker is beperkt tot de middelen die zijn goedgekeurd voor hartfalen in alle deelnemende landen (bisoprolol, carvedilol of metoprololsuccinaat met verlengde afgifte). Tenzij gecontra-indiceerd of niet verdragen, dient de toevoeging van een aldosteron-antagonist te worden overwogen in de afwezigheid van hyperkaliëmie en significante nierdisfunctie en conform de huidige normen; de eindbeslissing dient naar het oordeel van de onderzoeker te worden genomen. De dosering van de hierboven vermelde geneesmiddelen moet stabiel zijn gedurende ten minste 30 dagen vóór de screening, hoewel op- en neerwaartse titratie van diuretica, indien medisch aangewezen, is toegestaan. De inschrijving van een patiënt die van deze combinatie afwijkt, moet vooraf worden goedgekeurd door de medische monitor. ;b. Resynchronisatietherapie, indien klinisch aangewezen volgens de ACC-/AHA-/ESC HF-richtlijnen, moet ten minste 6 maanden vóór de screening geïmplanterd zijn.;c. Een implanteerbare cardioverter defibrillator (ICD), indien klinisch aangewezen volgens de ACC-/AHA-/ESC HF-richtlijnen, moet ten minste 30 dagen vóór de screening geïmplanterd zijn.;d. Hartrevalidatie moet overeenstemmen met de klinische praktijkrichtlijn van de Agency for Health Care Policy and Research, nummer 17, Hartrevalidatie. Dit houdt niet in dat de mogelijke kandidaat ten tijde van de screening of later ingeschreven moet zijn of worden bij een programma voor hartrevalidatie.;7. Alle vrouwen in de vruchtbare leeftijd moeten een negatieve urinezwangerschapstest hebben vóór de toediening van het onderzoeksgeneesmiddel en moeten ermee instemmen om adequate contraceptie (gedefinieerd als orale of injecteerbare contraceptiva, intra-uteriene middelen, chirurgische sterilisatie of een combinatie van een condoom met zaaddodende gel) te gebruiken of hun seksuele activiteit beperken tot een partner die een vasectomie heeft ondergaan, en dit gedurende 3 maanden na toediening van het onderzoeksgeneesmiddel. Mannen die een kind kunnen verwekken, moeten er mee instemmen om barrièrecontraceptie (combinatie van een condoom met zaaddodende gel) te gebruiken of hun seksuele activiteit te beperken tot een postmenopauzale of chirurgisch gesteriliseerde partner of tot een partner die doeltreffende contraceptiva gebruikt, en dit gedurende 3 maanden na toediening van het onderzoeksgeneesmiddel. ;8. In staat zijn om het formulier voor geïnformeerde toestemming en het formulier voor vrijgave van medische informatie te begrijpen en aan de studievereisten te voldoen, bevestigd door ondertekening. ;9. Aanwezigheid van tenminste een van de volgende riscofactoren:

- a. Hospitalisatie omwille van hartfalen binnen de zes maanden voor screening, of in plaats van hospitalisatie tenminste twee interventies in dagkliniek voor behandeling van symptomen van een verergering van het hartfalen (bvb intraveneuze anti-diuretica, perifere ultrafiltratie)
- b. NT-proBNP >1200 pg/mL (BNP >225 pg/mL) binnen 30 dagen van screening; indien de patiënt atriale fibrillatie heeft, NT-proBNP >1600 pg/mL (BNP >275 pg/mL) binnen 30 dagen van screening.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Intraveneuze (i.v.) behandeling met positieve inotropen, vasodilators of diuretica binnen 30 dagen vóór de screening.;2. Restrictieve cardiomyopathie, obstructieve cardiomyopathie, acute cardiomyocarditis, pericardiale ziekte, amyloidosis, infiltratieve cardiomyopathie, ongecorrigeerde schildklierziekte of discreet LV-aneurysma.;3. Hartchirurgie, percutane coronaire interventie (PCI) of valvuloplastiek binnen 30 dagen vóór de screening.;4. Myocardinfarct (bijv. MI met ST-verhoging [STEMI] of groot non-STEMI) binnen 90 dagen vóór de screening. Een groot non-STEMI moet worden gedefinieerd als $>3\times$ de bovenlimiet van normaal (ULN) voor CK-MB of $>5\times$ ULN voor troponine.;5. Eerdere harttransplantatie, linker ventriculaire reductiechirurgie (LVRS), cardiomyoplastiek, passief bevestigingshulpmiddel (bijv. CorCap* cardiaal ondersteuningshulpmiddel), chirurgisch geïmplantéerd LVAD of cardiale shunt.;6. Aannemelijke noodzaak tot een onmiddellijke harttransplantatie of LVAD-implantatie als gevolg van hemodynamische instabiliteit.;7. Eerdere CABG die niet ideaal wordt beschouwd voor opname in de studie; mogelijke kandidaten kunnen echter per geval worden bekeken. De opening van het transplantaat moet idealiter gemakkelijk kunnen worden aangesloten op een katheter en het transplantaat moet een aanzienlijk deel van mogelijk levensvatbaar myocard kunnen perfunderen.;8. Bekende overgevoeligheid voor contrastmiddelen die worden gebruikt voor angiografie; voorgeschiedenis van, of aannemelijke noodzaak tot voorbehandeling met hoge doses steroïden vóór angiografie met contrastmiddel.;9. Volgens het oordeel van de onderzoeker aanzienlijke stenose van de linkerhoofdkransslagader of van de ostiale rechterkransslagader.;10. Leverfunctietests (ALT, AST, alkalinefosfatase) $> 3\times$ de bovenlimiet van normaal (UNL) binnen 30 dagen vóór de toediening van het onderzoeksgeneesmiddel of bekende intrinsieke leverziekte (bijv. cirrose, chronische infectie met hepatitis B- of hepatitis C-virus).;11. Actuele of aannemelijke noodzaak tot hemodialyse binnen 12 maanden na inschrijving of huidige GFR $\ast 20$ ml/minuut/1,73 m² geschat met behulp van de MDRD-formule.;12. Bloedingsdiathese of trombocytopenie gedefinieerd als een aantal bloedplaatjes <50.000 bloedplaatjes/ μ l.;13. Anemie gedefinieerd als hemoglobine <9 g/dl, mits geen bewijs van bloeding.;14. Bekende aids-status of hiv seropositieve status, of een eerdere diagnose van immunodeficiëntie met een absoluut aantal neutrofielen <1000 cellen/mm³.;15. Diagnose van, of behandeling voor, elke kanker behalve basaal cel carcinoom tijdens de 5 vorige jaren. (Voorgaande medische geschiedenis van kanker sluit de patiënt niet uit zolang de patiënt tenminste 5 jaar ziekte-vrij is sinds diagnose en behandeling).;16. Eerdere deelname aan een studie naar genoverdracht; als de studie echter gedeblindeerd werd of er bestaat documentatie dat de patiënt werd gerandomiseerd naar de placebocontrolegroep en geen actief genoverdrachtmiddel kreeg toegediend, kan de patiënt worden overwogen voor deelname aan deze studie.;17. Het krijgen van een onderzoeksinterventie of deelname aan een andere klinische studie binnen 30 dagen of binnen 5 halfwaardetijden van het toegediende onderzoeksgeneesmiddel vóór de screening. Een uitzondering kan worden gemaakt als de persoon is ingeschreven bij een niet-therapeutische observationele studie (register) of het observationele gedeelte van een therapeutische studie waarbij de opdrachtgevende instantie de inschrijving goedkeurt.;18. Zwanger of het geven van borstvoeding.;19. Recente voorgeschiedenis van een psychiatrische aandoening, waaronder drugs- of alcoholgebruik dat het vermogen van de

patiënt om te voldoen aan de protocolprocedures, volgens het oordeel van de onderzoeker, waarschijnlijk negatief zal beïnvloeden.;20. Andere gelijktijdige medische aandoening die, hoewel niet expliciet uitgesloten door het protocol, de veiligheid van de patiënt of de doelstellingen van de studie in gevaar kan brengen.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	08-08-2013
Aantal proefpersonen:	15
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Generieke naam:	Genetisch gemodificeerde organisme
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	MYDICAR®
Generieke naam:	AAV1/SERCA2a

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum:	20-09-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-01-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-08-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-08-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-12-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-01-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

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	EUCTR2012-001700-37-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01643330
CCMO	NL40872.000.12