

Een fase 1 Studie met DCR-PH1 bij Patienten met Primaire Hyperoxalurie Type 1 (PH1)

Gepubliceerd: 11-12-2015 Laatst bijgewerkt: 19-04-2024

Primaire Doelstelling: - Vaststellen van de veiligheid en verdraagbaarheid van DCR-PH1, toegediend via een intraveneuze (IV) infusie aan patiënten met PH1. Secundaire Doelstelling: - PK onderzoek van de DCR-PH1 .- Onderzoeken van de effecten van DCR...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON44062

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

DICERNA: DCR-PH1-101

Aandoening

- Overige aandoening

Synoniemen aandoening

PH1

Aandoening

Autosomal recessive disorder

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Overige ondersteuning: sponsor van het onderzoek (Dicerna)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: DCR-PH1, Fase 1, Patienten studie, Primaire Hyperoxalurie type 1

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Veiligheid en verdraagbaarheid van het onderzoeksmiddel bepaald door het aantal studie patienten met bijwerkingen.

Secundaire uitkomstmaten

- 1) Bepaling van de PK parameters
- 2) Verandering in plasma waarden, vanaf de baseline tot elk tijdstip van oxalaat en glycolaat
- 3) Verandering in de urine waarden, vanaf de baseline van oxalaat, oxalaat naar creatinine ratio en glycolaat

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

DCR-PH1 beoogt de overmatige productie van oxalaat bij patiënten met PH1 te minimaliseren door het blokkeren van de productie van glyoxylaat, welke een belangrijke precursor voor de productie van oxalaat in de lever is.

In deel A (het SAD deel) van het onderzoek zal de veiligheid en verdraagbaarheid van verschillende doseringen DCR-PH1 onderzocht worden en een geschikte dosering voor deel B worden vastgesteld.

In deel B (het MAD deel) van het onderzoek zal meer informatie over de veiligheid en verdraagbaarheid en een betere karakterisering van de farmacokinetische (PK) en farmacodynamische (PD) effecten van meervoudige

DCR-PH1 doses verzameld worden.

Doel van het onderzoek

Primaire Doelstelling:

- Vaststellen van de veiligheid en verdraagbaarheid van DCR-PH1, toegediend via een intraveneuze (IV) infusie aan patiënten met PH1.

Secundaire Doelstelling:

- PK onderzoek van de DCR-PH1 .
- Onderzoeken van de effecten van DCR-PH1 (PD) met betrekking tot veranderingen in plasma en urine oxalaat en glycolaat niveaus (PD)

Aanvullende secundaire doelstellingen voor deel B zijn:

- Het onderzoeken van de klinische en radiologische veranderingen die in verband met hyperoxalurie gebracht kunnen worden tijdens de behandeling met DCR-PH1.
- Het onderzoeken van kwaliteit van leven bij patiënten tijdens de behandeling met DCR-PH1 (middels een vragenlijst)

Onderzoeksopzet

Dit is een single-arm, open-label, dosis escalatie studie van de DCR-PH1 om een veilige en aanvaardbare dosis DCR-PH1 voor patiënten met PH1 vast te stellen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Voor Deel A (SAD): Dose Level (Cohort) Dose (mg/kg) Percent increase
1 0.05 - 2 0.1 100%
3 0.2 100%
4 0.4 100%
5 0.7 75%
6 1.0 50%

Inschatting van belasting en risico

DCR-PH1 is niet eerder onderzocht bij de mens. Aangezien informatie over bijwerkingen alleen afkomstig is uit studies bij dieren, is er weinig bekend over de bijwerkingen die mogelijk bij de mens kunnen voorkomen. Er zijn echter al studies bij mensen gedaan met geneesmiddelen die vergelijkbaar zijn met DCR-PH1 (omdat ze eenzelfde soort "coating" rond het actieve deel van het geneesmiddel hebben) en de bijwerkingen van die studies zijn beschreven in het patienteninformatie formulier.

Er zijn bepaalde risico's en ongemakken die gepaard kan gaan met de testen die in dit onderzoek gedaan worden:

- Er kunnen ongemakken/klachten optreden bij het bloedonderzoek: er kan pijn, zwelling en / of blauwe plekken zijn op de plaats waar u uw bloed wordt afgenomen (injectieplaats), zoals een mogelijke ontsteking van de ader of een

infectie van de aanprikplaats.

Contactpersonen

Publiek

Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Cambridgepark Drive 87
MA 02140 Cambridge
US

Wetenschappelijk

Dicerna Pharmaceuticals, Inc

Cambridgepark Drive 87
MA 02140 Cambridge
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)

- Diagnose van PH1, bevestigd door genotypering voor homozygositeit of samengestelde heterozygotie in de AGXT gen (historisch beschikbare genotype informatie is aanvaardbaar om voor de studie in aanmerking te komen).
- 24-uurs urine oxalaat excretie * 0,7 mmol per 1,73 m² lichaamsoppervlak (BSA).

- Een geschatte glomerulaire filtratiesnelheid * 40 ml / min genormaliseerd tot 1,73 m² BSA berekend met behulp van de "Modification of Diet in Renal Disease (MDRD)" (Wijziging van de Diet in Renal Disease) formule bij volwassenen (leeftijd * 18 jaar).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Een eerder doorgemaakte nier- en / of lever transplantatie.
- Medische geschiedenis van (klinische) symptomen van systemische oxalosis anders dan nierstenen of nefrocalcinose.
- Deelname aan een klinische onderzoek waarbij een onderzoeksgeneesmiddel is gegeven, in een periode van 30 dagen voor de start van dit onderzoek.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 26-08-2016

Aantal proefpersonen: 7

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 11-12-2015

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO

Datum: 21-07-2016

Soort: Eerste indiening

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	EUCTR201500314251-NL
CCMO	NL54981.000.15