

Werkzaamheid en veiligheid van NNC 0129-0000-1003 tijdens operaties bij patiënten met hemofilie A

Gepubliceerd: 14-11-2011 Laatste bijgewerkt: 01-05-2024

Primair doel: * Het evalueren van het hemostatische effect van N8-GP tijdens operaties bij patiënten met hemofilie A. Secundaire doelen:* Het evalueren van de algemene veiligheid, inclusief immunogeniciteit van N8-GP, wanneer gebruikt voor profylaxe...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON44118

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Pathfinder3

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

bloedersiekte, Hemofilie A

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Novo Nordisk

Overige ondersteuning: Novo Nordisk B.V. (industrie)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Geneesmiddelenonderzoek, Hemofilie A, N8-GP, Operatie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primair eindpunt:

- * Hemostatisch effect tijdens operaties geëvalueerd door een vier-punts schaal (Voortreffelijk, goed, gemiddeld, geen), beoordeeld door de onderzoeker/chirurg op de dag van de operatie.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire eindpunten:

- * Gemiddelde consumptie van N8-GP tijdens de ingreep
- * Hemostatische effect van N8-GP tijdens de post-operatieve periode Dag 1-6 en Dag 7-14
- * Gemiddelde consumptie van N8-GP tijdens de post-operatieve periode Dag 1-6
- * Incidentie van remmers tegen Factor VIII (*0.6 BU/mL)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit onderzoek is opgezet om de veiligheid en werkzaamheid van N8-GP tijdens operaties en in de post-operatieve periode bij hemofilie A patiënten te onderzoeken. Een operatie onderzoek is in overeenstemming met de CHMP guideline voor klinisch onderzoek van recombinant en menselijk plasma afgeleide Factor VIII producten (EMA/CHMP/BPWP/144533/2009). Het onderzoek zal informatie verschaffen over het profylactische effect op bloedingen tijdens operaties, het hemostatische effect tijdens en na de procedures, en het veiligheidsprofiel van N8-GP bij patiënten met hemofilie A.

In het afgeronde fase 1 onderzoek zijn 26 eerder behandelde patiënten gedoseerd met N8-GP en hebben een veiligheids en PK onderzoek ondergaan. Het fase 1

onderzoek is succesvol afgerond zonder dat zich veiligheidsproblemen hebben voorgedaan. Er zijn geen Factor VIII remmers ontdekt en er zijn geen aan de behandeling gerelateerde SAE's gemeld. De halfwaardetijd was ongeveer 1.6 keer zo lang in vergelijking met de voorgaande Factor VIII producten van de patiënten.

Doel van het onderzoek

Primair doel:

- * Het evalueren van het hemostatische effect van N8-GP tijdens operaties bij patiënten met hemofilie A.

Secundaire doelen:

- * Het evalueren van de algemene veiligheid, inclusief immunogeniciteit van N8-GP, wanneer gebruikt voor profylaxe en behandeling van bloedingen tijdens de ingreep
- * Het evalueren van het hemostatische effect van N8-GP tijdens de post-operatieve periode.
- * Het evalueren van het gebruik van gezondheidseconomische resources (aantal dagen ziekenhuisopname) als gevolg van de operatie

Onderzoeksopzet

Het onderzoek is een multi-centrum, multi-nationaal, open-label, niet-gerandomiseerd, niet vergelijkend onderzoek naar de effectiviteit en veiligheid van N8-GP bij operaties bij patiënten met ernstige hemofilie A (Factor VIII activiteit <1%). In totaal moeten minimaal 15 grote operaties worden geëvalueerd in 10-15 patiënten.

Dit onderzoek zal informatie verschaffen over het profylactische effect op bloedingen van N8-GP, wanneer dit wordt toegediend voor, tijdens en na de ingreep. Patiënten die meedoen aan dit onderzoek kunnen worden gerekruteerd vanuit het hoofdonderzoek (pathfinder2).

Dit operatie onderzoek zal bestaan uit een screeningsbezoek (Bezoek 1), de dag van de ingreep (Bezoek 2), een post-operatieve periode (dag 1-6: Bezoek 3, dag 7-14: Bezoek 4) en een EOT bezoek (Bezoek 5).

Onderzoeksproduct en/of interventie

Voortgezette behandeling met N8-GP volgens het behandelregime in het pathfinder2 onderzoek in de periode voor de operatie. Een initiële injectie op de dag van de operatie en daarna afhankelijk van de behoefte van de patiënt. Daarnaast operatie afhankelijke interventies.

Inschatting van belasting en risico

Op de plaats van de bloedafname, of injectie met N8-GP kan sprake zijn van

tijdelijk ongemak, blauwe plekken, bloedingen of zwellingen. Er bestaat ook een zeer kleine kans op een infectie op de plaats waar de naald wordt ingebracht. Verder is het mogelijk dat N8-GP bijwerkingen veroorzaakt. Daarnaast bestaat het risico dat er antistoffen tegen N8-GP en/of Factor VIII worden gevormd die de werkzaamheid van toekomstige behandelingen met Factor VIII-producten kunnen verminderen.

Contactpersonen

Publiek

Novo Nordisk

Flemingweg 18
Alphen a/d Rijn 2408 AV
NL

Wetenschappelijk

Novo Nordisk

Flemingweg 18
Alphen a/d Rijn 2408 AV
NL

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)

- * Ongoing deelname aan het pathfinder2 onderzoek (NN7088-3859) en minimaal 5 doseringen N8-GP gehad
- * Geplande operatie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- * Bekend met of te verwachten overgevoeligheid voor het onderzoeksproduct inclusief allergie tegen hamster eiwit of gerelateerde producten
- * Eerdere terugtrekking uit het pathfinder2 (NN7088-3859) onderzoek nadat de behandeling met het onderzoeksproduct was gestart, met uitzondering van een onderbreking voor deelname aan dit pathfinder3 onderzoek (NN7088-3860)
- * Toediening van een onderzoeksgeneesmiddel (behalve N8-GP) binnen 30 dagen voorafgaand aan de insluiting in dit onderzoek
- * Factor VIII remmers **0.6 BU/mL bij screening
- * Eerdere slagaderlijke thrombotische gebeurtenis (e.g. myocard infarct en intracraniele thrombose) of eerdere diep-veneuze trombose of longembolie (als gedefinieerd in de medische brongegevens)
- * Gebruik van immuun modulerende of chemotherapeutische medicatie

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	06-05-2013
Aantal proefpersonen:	1

Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort: Geneesmiddel
Merknaam: Nog niet bekend
Generieke naam: N8-GP

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-11-2011
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-02-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-05-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-06-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-03-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-03-2014
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-04-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-10-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	26-11-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-12-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-06-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-08-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-12-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	08-02-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-11-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	30-11-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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	EUCTR2011-001144-30-NL
ClinicalTrials.gov	NCT01489111
CCMO	NL38634.078.11