

Een multicentrisch, gerandomiseerd, dubbelblind, placebogecontroleerd fase 3-onderzoek naar de werkzaamheid en veiligheid van crème SD-101 bij patiënten met epidermolysis bullosa

Gepubliceerd: 03-07-2014 Laatste bijgewerkt: 21-04-2024

De primaire doelstelling is het vergelijken van de werkzaamheid en veiligheid van SD-101-6.0 ten opzichte van SD-101-0.0 (placebo) bij patiënten met epidermolysis bullosa simplex, recessieve dystrofische of non-Herlitz junctionele epidermolysis...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Epidermale en dermale aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON44714

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

SD-005 protocol

Aandoening

- Epidermale en dermale aandoeningen

Synoniemen aandoening

Eerfelijke bindweefselziekte; Erfelijke huidaandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Scioderm Inc.

Overige ondersteuning: Scioderm Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: epidermolysis bullosa (EB) simplex, Non-Herlitz junctionele EB, recessieve dystrofische EB, SD-101

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire efficiëntie eindpunten

De primaire eindpunten voor deze studie zijn

- Tijd tot sluiten van doelwond binnen 3 maanden. (Volledige sluiting van de doelwond wordt gedefinieerd als re-epithelialisatie van de huid zonder drainage)
- Het aandeel van de patiënten die volledige sluiting van hun doelwond binnen 3 maanden ervaren.

Secundaire uitkomstmaten

De slot secundaire eindpunten omvatten de schatting van de mate van bedekking van het lichaamsoppervlak door aangetaste huid, en beoordeling van jeuk en pijn.

De secundaire meetpunten van werkzaamheid zijn:

- Aantal patiënten die volledige sluiting van doelwond ervaren binnen 2 maanden.
- Aantal patiënten die volledige sluiting van doelwond ervaren binnen 1 maand.
- Verandering in llesie aangetaste huid op basis van schattingen van het lichaamsoppervlak in maand 3, vergeleken ten opzichte van metingen bij aanvang van het onderzoek.
- Verandering in totaal aangetaste huid op basis van schattingen van het lichaamsoppervlak in maand 3, vergeleken ten opzichte van metingen bij aanvang

van het onderzoek.

- Verandering in jeuk beoordeeld op dag 7 ten opzichte van jeuk bij aanvang van het onderzoek.

- Verandering in pijn beoordeeld op dag 7 ten opzichte van pijn bij aanvang van het onderzoek.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Epidermolysis bullosa (EB) is een zeldzame groep van erfelijke aandoeningen die doorgaans zich bij de geboorte manifesteren in de vorm van blaarvorming en laesievorming op de huid en in sommige gevallen het epitheel van andere organen. Als gevolg daarvan is de huid zeer kwetsbaar wat kan leiden tot afschuiving van de huid, wat de infectie risico kan verhogen. Alle vormen van EB zijn zowel slopend als levensbedreigend. Er zijn geen standaard behandelingen beschikbaar voor de symptomen van EB behandeling en er zijn ook geen goedgekeurde geneesmiddelen beschikbaar voor EB in Europa of Verenigde Staten. Er zijn tal van studies verschenen over mogelijke behandelingen voor de huid manifestaties geassocieerd met EB geweest. Echter geen van deze gecontroleerde studies toonden klinisch voordeel aan. Nieuwe verkennende behandelingen, waaronder huidtransplantaties, bioengineerd huid producten en gentherapie zijn ook niet succesvol tot nu toe. In een open label studie patiënten behandeld met SD-101 crème toonden significante verbeteringen in de volledige genezing van de laesies, klinisch relevante vermindering van de omvang van het totale huidoppervlak betrokkenheid met een actieve ziekte, minder pijn en jeuk. Het doel van de studie is het evalueren van de werkzaamheid en veiligheid van SD-101 crème vs placebo bij patiënten met EB.

Doel van het onderzoek

De primaire doelstelling is het vergelijken van de werkzaamheid en veiligheid van SD-101-6.0 ten opzichte van SD-101-0.0 (placebo) bij patiënten met epidermolysis bullosa simplex, recessieve dystrofische of non-Herlitz junctionele epidermolysis bullosa. Het primaire eindpunt is de volledige sluiting van de doelwond van de patiënt. binnen 2 maanden.

Onderzoekopzet

Een multi-center, gerandomiseerd, dubbelblind, placebogecontroleerd fase

3-onderzoek om de werkzaamheid en veiligheid van crème SD-101-6.0 vs placebo (SD-101-0.0) op laesies bij patiënten met epidermolysis bullosa simplex, recessieve dystrofische of non-Herlitz junctionele epidermolysis bullosa te evalueren.

Studie crème (SD-101 of placebo) wordt gedurende 90 dagen eenmaal per dag topisch op het hele lichaam aangebracht

Onderzoeksproduct en/of interventie

Studie crème (SD-101 of placebo) wordt gedurende 90 dagen eenmaal per dag topisch op het hele lichaam aangebracht

Inschatting van belasting en risico

In een eerdere studie met SD-101 zijn sommige gevallen van milde roodheid van de huid gemeld na toepassing van SD-101 crème. Verder zullen patiënten worden gevraagd om pijn en jeuk vragenlijsten (schalen) in te vullen, en dagboeken bijhouden. Alle patiënten zullen moeten studie crème (SD-101 of placebo) eenmaal daags gebruiken gedurende 90 dagen en het ziekenhuis / kliniek vaker bezoeken

Contactpersonen

Publiek

Scioderm Inc.

Creekstone Drive Suite 160 4601
Durham NC 27703
US

Wetenschappelijk

Scioderm Inc.

Creekstone Drive Suite 160 4601
Durham NC 27703
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- 1.Toestemmingsformulier ondertekend door de patiënt of de wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt; als de patiënt onder de 18 jaar is, maar in staat is om toestemming te geven, door de patiënt ondertekend toestemmingsformulier.
- 2.De patiënt (of verzorger) moet bereid zijn om te voldoen aan alle vereisten van het protocol.
- 3.Diagnose van EB simplex, recessieve dystrofische of non-Herlitz junctionele EB.
- 4.De patiënt moet 1 doelwond hebben (afmeting 10 tot 50 cm²).
- 5.De patiënt moet 1 maand of ouder zijn.
- 6.De doelwond moet gedurende minstens 21 dagen aanwezig zijn.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- 1.Patiënten die niet voldoen aan de hierboven beschreven inclusiecriteria.
- 2.De geselecteerde doelwond mag geen klinische aanwijzingen van lokale infectie vertonen.
- 3.Gebruik van een onderzoeksgeneesmiddel binnen 30 dagen vóór opname in het onderzoek.
- 4.Gebruik van immunotherapie of cytotoxische chemotherapie binnen 60 dagen vóór opname in het onderzoek.
- 5.Gebruik van systemische of topische steroïdentherapie binnen 30 dagen vóór opname in het onderzoek. (Inhalatiesteroïden en oogdruppels die steroïden bevatten zijn toegestaan)
- 6.Gebruik van systemische antibiotica binnen 7 dagen vóór opname in het onderzoek.
- 7.Een maligniteit hebben of gehad hebben.
- 8.Arteriële of veneuze aandoening die leidt tot ulcererende laesies.
- 9.Zwangerschap of borstvoeding gedurende de onderzoeksperiode. (Een urine zwangerschapstest zal bij de screening worden uitgevoerd en om de 30 dagen tot het laatste bezoek bij vrouwelijke patiënten die zwanger kunnen worden)

10. Seksueel actieve vrouwen die zwanger kunnen worden en die niet een medisch aanvaarde methode van anticonceptie toepassen.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	15-03-2015
Aantal proefpersonen:	14
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Zorblisa
Generieke naam:	ALLANTOIN

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-07-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	23-12-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-02-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-04-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-05-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-06-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-11-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-12-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-12-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-02-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	

Datum:	26-04-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-06-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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	EUCTR2014-002288-14-NL
CCMO	NL49780.042.14