

Een fase 3, multicenter, open-label extensie studie met Patidegib topicale gel, 2% bij patiënten met Gorlin syndroom (Basaalcel naevus syndroom)

Gepubliceerd: 02-04-2020 Laatste bijgewerkt: 08-04-2024

Primaire doelstelling* Beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van patidegib topische gel, 2%, bij patiënten die PellePharm-onderzoek Pelle-926-201 of Pelle-926-301 hebben afgerond
Secundaire doelstellingen* Beoordelen van de werkzaamheid...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Huidneoplasmata maligne en niet-gespecificeerd
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON49176

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PATIDEGIB fase 3 OLE studie bij patiënten met Gorlin syndroom

Aandoening

- Huidneoplasmata maligne en niet-gespecificeerd

Synoniemen aandoening

Gorlin syndroom; Basaalcel naevus syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: PellePharm, Inc.

Overige ondersteuning: PellePharm;Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Gorlin syndroom, open-label extensie studie, Patidegib topicale gel

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- * Het aantal laesies op het gezicht welke verdacht zijn voor BCC
- * Het aantal laesies op het gezicht welke verdacht zijn voor BCC en die chirurgisch verwijderd zijn
- * Het aantal laesies op het gezicht welke verdacht zijn voor BCC en verwijderd zijn, en die op basis van histologisch onderzoek BCC blijken te zijn.
- * Kwaliteit van leven beoordelingen

Secundaire uitkomstmaten

- * Veligheidsbeoordelingen
- * Verdraagbaarheid voor de huid
- * Lichamelijke onderzoeken
- * Zwangerschapstests

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

PellePharm, Inc. (PellePharm) ontwikkelt een topicale toediening van patidegib voor de behandeling van de ziektelast van persisterend ontwikkelende basaalcel carcinomas (BCCs) bij patiënten met Gorlin syndroom en een hoge frequentie van BCCs (HF-BCC). Momenteel bestaan er geen goedgekeurde therapiën voor Gorlin syndroom of HF-BCC. Het doorlopend ontstaan van BCCs, vooral in het gezicht, kan leiden tot ernstig misvormende littekens en functionele beperkingen, wat resulteert in een significante afname van de kwaliteit van leven. Door het aantal benodigde chirurgische ingrepen te beperken, zal hopelijk de kwaliteit van leven voor deze patiënten aanzienlijk verbeteren.

Doel van het onderzoek

Primaire doelstelling

* Beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van patidegib topische gel, 2%, bij patiënten die PellePharm-onderzoek Pelle-926-201 of Pelle-926-301 hebben afgerond

Secundaire doelstellingen

* Beoordelen van de werkzaamheid van patidegib topische gel, 2%, bij patiënten die PellePharm-onderzoek Pelle-926-201 of Pelle-926-301 hebben afgerond

Onderzoeksopzet

Dit is een multicenter, open-label verlengingsonderzoek ter evaluatie van de veiligheid van patidegib topische gel, 2%, tweemaal daags topisch aangebracht in het gezicht bij volwassen proefpersonen met het Gorlin-syndroom. De behandelingsduur is 12 maanden, met een mogelijke verlenging na deze periode. De inclusie sluit rond de tijd dat de laatste patiënt in onderzoek 926-301 zijn of haar aan onderzoek 926-301 gerelateerde procedures heeft afgerond.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patidegib topische gel, 2% (g/g). Het onderzoeksmiddel wordt aangebracht op het gezicht, gedefinieerd als het gebied dat zich uitstrekt van de anterieure haarlijn tot aan de kaaklijn (met uitzondering van de oogleden).

Inschatting van belasting en risico

Patidegib Topical Gel, 2 % lijkt veelbelovend in het beheersen van de tumorlast bij patiënten met Gorlin syndroom, zonder de systemisch toxiciteit van orale HHI (Hedgehog Inhibitors). De ziektelast voor deze patiënten is significant, ook vergeleken met de potentiële risico's van het onderzoeksmiddel (gebaseerd op veiligheidsanalyses in voorgaande klinische studies en de lage systemische bio-beschikbaarheid van patidegib topische Gel, 2%). Het huidige risicoprofiel wordt dan ook als acceptabel beschouwd ter ondersteuning van de verdere ontwikkeling van patidegib topische gel bij Gorlin patiënten.

Contactpersonen

Publiek

PellePharm, Inc.

Mission Street 101, Suite 1950
California San Francisco, CA 94105
US

Wetenschappelijk

PellePharm, Inc.

Mission Street 101, Suite 1950
California San Francisco, CA 94105
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. De proefpersoon moet tenminste 18 jaar oud zijn.
2. De proefpersoon moet schriftelijk geïnformeerde toestemming geven voor de studie.
3. De proefpersoon moet PellePharm-onderzoek 926-201 of 926-301 hebben afgerond.
4. Proefpersonen van het Pelle-926-301-onderzoek moeten voorafgaand aan het screeningsbezoek van dit onderzoek het laatste behandlingsbezoek van onderzoek 301 hebben afgerond. Ook moeten zij alle aan onderzoek 301 gerelateerde procedures afronden vóór het baselinebezoek van dit onderzoek.
5. De proefpersoon moet voldoen aan de criteria voor Gorlin (Basaalcel naevus syndroom), inclusief major criterium #a plus 1 additioneel major criterium of plus 2 additionele minor criteria zoals weergegeven in Apendix 17.2 van het studieprotocol.
6. De proefpersoon moet bereid zijn om voor de duur van het onderzoek af te zien van de toepassing van topicale medicatie die geen deel uitmaakt van het onderzoek (voorgeschreven of zelfzorgmedicijnen) op de gezichtshuid, tenzij

voorgeschreven door de onderzoeker. Vochtinbrengers en emolliëntia zijn toegestaan. De proefpersonen wordt aangeraden om dagelijks een door hen verkozen zonnebrandcrème met een beschermingsfactor (SPF) van ten minste 30 te gebruiken op alle blootgestelde delen van de huid.

7. Vrouwelijke proefpersonen moeten een negatieve zwangerschapstest hebben (een serumzwangerschapstest ten tijde van het screeningsbezoek, een urinezwangerschapstest ten tijde van het baselinebezoek). Voor proefpersonen van onderzoek 301 is een negatief resultaat van een serumzwangerschapstest als onderdeel van onderzoek 301 aanvaardbaar, indien de test binnen 7 dagen vóór het screeningsbezoek van dit onderzoek is uitgevoerd.

8. Indien de proefpersoon een vrouw is die kinderen kan krijgen, moet zij bereid zijn om geboortebeperkingsmethoden te gebruiken die als zeer effectief worden beschouwd (bijlage 17.1). Hormonale anticonceptie dient aangevuld te worden met een barrièremethode (bij voorkeur een condoom). Geboortebeperving dient vóór baseline te beginnen en gedurende het gehele onderzoek, tot 30 dagen na de laatste toepassing van het onderzoeksmiddel, voort te duren.

9. Indien de proefpersoon een man is met een vrouwelijke sekspartner die kinderen kan krijgen, moet de proefpersoon bereid zijn om condooms te gebruiken, zelfs na een vasectomie; dit gebruik dient vóór baseline te beginnen en gedurende het gehele onderzoek, tot minimaal 3 maanden na de laatste toepassing van het onderzoeksmiddel voort te duren.

10. De proefpersoon is bereid om alle basaalcelcarcinomen (BCC*s) in het gezicht te laten evalueren en de behandelingsaanbevelingen op te volgen die uitsluitend door de onderzoeker worden gedaan.

11. De proefpersoon is bereid af te zien van de behandeling van BCC's in het gezicht met enig ander middel dan het onderzoeksmiddel, tenzij de onderzoeker van mening is dat uitstel van de behandeling van een BCC de gezondheid van de proefpersoon in gevaar zou kunnen brengen. In dergelijke gevallen is de enige andere toegestane vorm van behandeling een chirurgische ingreep.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De proefpersoon heeft een topische behandeling van het gezicht of systemische behandelingen gebruikt die de evaluatie van het onderzoeksmiddel zouden kunnen beïnvloeden (zie sectie 7.1 van het studieprotocol voor details).
2. De proefpersoon is bekend met een overgevoeligheid voor één of meer ingrediënten in het studieproduct.
3. De proefpersoon kan of wil zich niet houden aan de studiebezoeken en -testen.
4. De proefpersoon neemt momenteel deel aan, heeft recent deelgenomen aan (binnen vijf halfwaardetijden van het experimentele geneesmiddel of, indien de halfwaardetijd niet bekend is, in de laatste 6 maanden voorafgaand aan het screeningsbezoek), of is van plan (tijdens deelname aan dit onderzoek) deel te nemen aan een onderzoek naar een experimenteel geneesmiddel (met uitzondering van onderzoek 301).

5. De proefpersoon is een vrouw die kinderen kan krijgen en is niet bereid of in staat te voldoen aan de maatregelen ter voorkoming van een zwangerschap.
6. De proefpersoon is zwanger of geeft borstvoeding.
7. De proefpersoon heeft een aandoening waardoor, naar de mening van de onderzoeker, hij of zij aan een significant risico blootgesteld zou worden, of welke de studieresultaten zou kunnen beïnvloeden, dan wel zou kunnen interfereren met de deelname van de proefpersoon. Het zou kunnen gaan om een andere huidaandoening in het verleden (b.v. ernstig excheem in het gezicht), metabole dysfunctie, bevindingen tijdens het lichamelijk onderzoek of laboratorium onderzoek, welke kunnen leiden tot verdenking voor een ziekte of aandoening die een contraindicatie zou zijn voor het gebruik van het studieproduct of die de studieresultaten mogelijk kunnen beïnvloeden of de proefpersoon aan een hoog risico zou blootstellen voor wat betreft complicaties van de behandeling.

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:	21-07-2020
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	niet beschikbaar
Generieke naam:	patidegib

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-04-2020

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

Goedgekeurd WMO

Datum: 17-06-2020

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

Goedgekeurd WMO

Datum: 07-07-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

Goedgekeurd WMO

Datum: 20-07-2020

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

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

EudraCT

CCMO

ID

EUCTR2020-000253-27-NL

NL73056.068.20