

Een vierdelige fase 1/2-studie voor het evalueren van de veiligheid, verdraagbaarheid, farmacokinetiek en farmacodynamiek van M254 in gezonde vrijwilligers en in patiënten met immuun trombocytopenische purpura.

Gepubliceerd: 05-12-2018 Laatst bijgewerkt: 25-03-2025

Het doel van dit onderzoek is om te onderzoeken hoe veilig het nieuwe middel M254 is en hoe goed het wordt verdragen als het aan gezonde vrijwilligers of patiënten met immuun trombocytopenie (ITP) wordt toegediend. M254 is nog niet eerder aan mensen...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Plaatjesaandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON49624

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Veiligheid en verdraagbaarheid van M254 bij HV- en ITP-patiënten.

Aandoening

- Plaatjesaandoeningen

Synoniemen aandoening

immuun trombocytopenie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Momenta Pharmaceuticals, Inc.

Overige ondersteuning: Farmaceutische Industrie.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Gezonde Vrijwilligers, ITP Patienten, M254

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Deel A: De veiligheid en verdraagbaarheid beoordelen van een enkele oplopende dosis van intraveneuze toediening van M254 in gezonde vrijwilligers.

Deel B: De veiligheid en verdraagbaarheid beoordelen van een enkelvoudige intraveneuze toediening van M254 in immuun trombocytopenie patiënten vergeleken met 1000 mg / kg intraveneus Privigen

Deel C: Om de veiligheid van een enkele intraveneuze toediening van M254 te beoordelen in vergelijking met 1000 mg / kg Privigen en het karakteriseren van de PD van enkelvoudige intraveneuze toediening van M254 vergeleken met 1000 mg / kg Privigen

Deel D: Om de veiligheid en verdraagbaarheid van herhaalde intraveneuze toediening van M254 bij ITP-patiënten te beoordelen.

Secundaire uitkomstmaten

Deel A: Onderzoeken van de farmacokinetiek (PK) van een enkelvoudige intraveneuze toediening van M254 in verschillende doses in gezonde vrijwilligers

Deel B: Onderzoeken van de PK van een enkele intraveneuze toediening van M254 in verschillende doses bij ITP-patiënten

Deel C: Onderzoeken van de PK van een enkele intraveneuze toediening van M254

in verschillende doses.

Deel D: Onderzoeken van de PK van herhaalde intraveneuze doses van M254 bij ITP-patiënten en PD evalueren van herhaalde intraveneuze doses van M254 bij ITP-patiënten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

M254 is een nieuw middel dat mogelijk gebruikt kan worden bij de behandeling van ITP. ITP is een auto-immuunziekte welke wordt gekenmerkt door een verminderd aantal bloedplaatjes in het bloed. ITP kan bij zowel kinderen als volwassenen voorkomen. Symptomen van ITP zijn petechia (zeer kleine rode of paarse plekjes op de huid), purpura (rode of paarse plekken op de huid veroorzaakt door bloedingen onder de huid), blauwe plekken en open bloedingen. Om bloedingen te stoppen of te voorkomen, kunnen ITP-patiënten worden behandeld met antilichamen die door middel van een infuus worden toegediend, dit wordt intraveneuze immunoglobuline G (IVIg) genoemd. Door behandeling met IVIg, wordt het aantal bloedplaatjes in het bloed verhoogd. Er zijn echter hoge doses en lange infuustijden nodig om een effect te bereiken.

M254 is afgeleid van commercieel verkrijgbaar IVIg. In M254 is de hoeveelheid IVIg met een speciaal type antilichaam dat siaalzuur bevat, met behulp van enzymen vergroot. Het is aangetoond dat ontstekingsremmende eigenschappen van IVIg afhankelijk zijn van het aantal siaalzuur moleculen. Vanwege het hoge aantal IgG-antilichamen in M254 die siaalzuur moleculen, wordt er van uitgegaan dat M254 mogelijk beter werkt vergeleken met IVIg.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om te onderzoeken hoe veilig het nieuwe middel M254 is en hoe goed het wordt verdragen als het aan gezonde vrijwilligers of patiënten met immuun trombocytopenie (ITP) wordt toegediend. M254 is nog niet eerder aan mensen toegediend. Het is eerder wel in het laboratorium getest en op dieren.

Ook zal worden onderzocht hoe snel en in hoeverre M254 in het lichaam wordt opgenomen en uitgescheiden (dit wordt farmacokinetiek genoemd). Tevens zal het effect van M254 op het lichaam worden onderzocht, en met name op de hoeveelheid bloedplaatjes (dit wordt farmacodynamiek genoemd).

M254 zal worden vergeleken met een standaardbehandeling voor ITP-patiënten, IVIg. IVIg is een product dat wordt bereid uit gemengd bloedplasma afkomstig van een groot aantal gezonde bloeddonoren.

Dit onderzoek zal worden uitgevoerd in 25 gezonde mannelijke of vrouwelijke vrijwilligers en in ongeveer 55 patiënten met ITP. Het onderzoek bestaat uit 4 delen, Deel A, Deel B, Deel C en Deel D.

Deel A is afgerond. Daarin waren vijftientig gezonde mannelijke of vrouwelijke vrijwilligers ingeschreven.

Deel B van het onderzoek zal bestaan uit 4 tot 6 groepen, elk met 2 patiënten met ITP. Na afloop van Deel B mogen patiënten ook deelnemen aan Deel D van het onderzoek.

De effecten en veiligheid van M254 zullen worden vergeleken met de werkzaamheid en veiligheid van een vergelijkbare middel, IVIg. IVIg is sinds tientallen jaren de standaardbehandeling van ITP.

Deel C van het onderzoek zal bestaan uit 2 groepen, elk met 10 patiënten met ITP. Na afloop van Deel C, kunnen patiënten ook deelnemen aan Deel D van dit onderzoek.

De effecten en veiligheid van M254 zullen ook in dit deel van het onderzoek worden vergeleken met de werkzaamheid en veiligheid van IVIg.

Deel D van het onderzoek zal bestaan uit 15 tot 34 patiënten met ITP. Patiënten die hebben deelgenomen aan Deel B of Deel C mogen ook deelnemen aan Deel D.

Onderzoeksopzet

Deel A: Duur van het onderzoek van de keuring tot de nakeuring in totaal ongeveer 8 weken.

Men krijgt M254 of placebo als een intraveneus infuus (oplossing van het middel direct in een bloedvat toegediend). Hoe lang het infuus duurt, hangt af van de toe te dienen dosis. Over het algemeen duurt het infuus tussen de 6 minuten en 3 uur.

Deel B: Duur van het onderzoek van de keuring tot de nakeuring in totaal ongeveer 8 weken.

Alle patiënten krijgen een eenmalige dosis M254 welke 4 weken later wordt gevolgd door een eenmalige dosis met IVIg. In dit deel van het onderzoek zal geen placebo worden toegediend. M254 en IVIg zullen worden gegeven als een intraveneus infuus (oplossing van het middel direct in een bloedvat toegediend). De infuusduur hangt af van de toe te dienen hoeveelheid M254 (maximaal 4 uur voor M254). De infusie van IVIg kan tot 5 uur en 30 minuten duren afhankelijk van het lichaamsgewicht.

Deel C: Duur van het onderzoek van de keuring tot de nakeuring in totaal ongeveer 12 tot 20 weken.

Alle patiënten krijgen een eenmalige dosis M254 en een eenmalige dosis IVIg. Tussen de toediening van M254 en IVIg bevindt zich ongeveer 4 weken. De groep waarin men deelneemt en dus in welke volgorde men M254 of IVIg ontvangt, wordt bepaald door toeval. In dit deel van het onderzoek zal geen placebo worden toegediend. M254 en IVIg zullen worden gegeven als een intraveneuze infusie (oplossing van het middel direct in een bloedvat toegediend). De infuusduur hangt af van de toe te dienen hoeveelheid M254 (maximaal 4 uur voor M254). De infusie van IVIg kan tot 5 uur en 30 minuten duren afhankelijk van het lichaamsgewicht.

Deel D: Duur van het onderzoek van de keuring tot de nakeuring in totaal ongeveer 12 tot 14 weken.

Indien men niet heeft deelgenomen aan Deel B of C, ontvangt men 4 keer een dosis M254 (Groep 1). Als men al wel heeft deelgenomen aan Deel B of C, ontvangt men 3 keer een dosis M254 (Groep 2). Tussen elke toediening met M254 bevindt zich ongeveer 2 weken. In dit deel van het onderzoek zal geen placebo worden toegediend. M254 zal worden gegeven als een intraveneus infuus (oplossing van het middel direct in een bloedvat toegediend). De infuusduur hangt af van de toe te dienen hoeveelheid M254 (maximaal uur).

Onderzoeksproduct en/of interventie

Deel A: Groep 1; Dag 1; M254 3 mg/kg of placebo; eenmaal; Intraveneus infuus Groep 2; Dag 1; M254 10 mg/kg of placebo, eenmaal, Intraveneus infuus Groep 3; Dag 1; M254 30 mg/kg of placebo, eenmaal, Intraveneus infuus Groep 4; Dag 1; M254 60 mg/kg of placebo, eenmaal, Intraveneus infuus Groep 5; Dag 1; M254 120 mg/kg of placebo, eenmaal; intraveneus infuus Groep 6; Dag 1; M254 250 mg/kg of placebo, eenmaal; intraveneus infuus Groep 7c; Dag 1; M254 NTB mg/kg of placebo, eenmaal; intraveneus infuus Groep 8c; Dag 1; M254 NTB mg/kg of placebo, eenmaal; Intraveneus infuus Deel B: Groep 1; Dag 1; M254 60 mg/kgb; eenmaal; intraveneus infuus Groep 1; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal, intraveneus infuus Groep 2; Dag 1; M254 120 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 2; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 3; Dag 1; M254 250 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 3; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 4; Dag 1; M254 500 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 4; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 5; Dag 1; M254 NTB mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 5; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 6; Dag 1; M254 NTB mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Groep 6; Dag 29; Privigen 1000 mg/kg; eenmaal; intraveneus infuus Deel C: Er zullen twee verschillende hoeveelheden M254 worden gebruikt op basis van de resultaten van Deel A en Deel B van dit onderzoek en die zullen niet groter zijn dan 500 mg/kg. De patient krijgt de kleine hoeveelheid of de grote hoeveelheid M254, afhankelijk van de hoeveelheid die wordt getest op het moment dat deelname aan het onderzoek begint Deel D: Groep 1 Dag 1; M254 (NTB mg/kgb); Eenmalig Intraveneus infuus Groep 1 Dag 15; M254 (NTB mg/kg); Eenmalig Intraveneus infuus Groep 1 Dag 29; M254 (NTB mg/kg); Eenmalig Intraveneus infuus Groep 1 Dag 43; M254 (NTB mg/kg); Eenmalig Intraveneus infuus Groep 2 Dag 1; M254 (NTB mg/kg);

Eenmalig Intraveneus infuus Groep 2 Dag 15; M254 (NTB mg/kg); Eenmalig Intraveneus infuus Groep 2 Dag 29; M254 (NTB mg/kg); Eenmalig Intraveneus infuus

Inschatting van belasting en risico

Pijn, lichte bloedingen, blauwe plekken en mogelijk een infectie.

Contactpersonen

Publiek

Momenta Pharmaceuticals, Inc.

Binney Street 301
Cambridge MA 02142
US

Wetenschappelijk

Momenta Pharmaceuticals, Inc.

Binney Street 301
Cambridge MA 02142
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)

gezonde mannelijke of vrouwelijke vrijwilligers

leeftijd 18 - 55 jaar

gewicht: het lichaamsgewicht moet binnen een bereik liggen waardoor de geplande M254-infusietijd in * 4 uur kan worden voltooid.

BMI 18.5 - 30 kilogram/meter²

Patienten:

man of vrouw bij wie ten minste 3 maanden geleden ITP is gediagnosticeerd
ouder dan 18 jaar

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Lijdend aan hepatitis B, hepatitis C, kanker of HIV/AIDS. Indien gedurende de 90 dagen voorafgaand aan de start van dit onderzoek aan een ander geneesmiddelenonderzoek is deelgenomen. Indien gedurende de 30 dagen voor start van dit onderzoek bloed is gegeven. Indien gedurende de 10 maanden voor de start van dit onderzoek meer dan 1.5 liter bloed is gegeven.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	04-01-2019
Aantal proefpersonen:	30

Werkelijke startdatum

Goedgekeurd WMO

05-12-2018

Eerste indiening

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

03-01-2019

Eerste indiening

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

20-02-2019

Amendement

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

23-04-2019

Amendement

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

25-04-2019

Amendement

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

07-06-2019

Amendement

BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek
(Assen)

Datum:

03-09-2019

Amendement

Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-09-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-11-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-12-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-03-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-06-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-06-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

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	EUCTR2018-003534-32-NL
CCMO	NL68253.056.18

Resultaten

Einddatum onderzoek: 21-01-2021

Datum resultaten gemeld: 28-06-2022

URL result

URL

Type

int

Naam

M2.2 Samenvatting voor de leek

URL

Internal documents

File