

Een programma voor verlengde toegang ter beoordeling van de langetermijnveiligheid van bardoxolonmethyl bij patiënten met pulmonale hypertensie

Gepubliceerd: 21-03-2017 Laatste bijgewerkt: 13-04-2024

Het bieden van een verlengde open-label behandeling met bardoxolonmethyl als onderdeel van dit EAP en doorlopende gegevensverzameling over de veiligheid en verdraagzaamheid van bardoxolonmethyl.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON49960

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

RANGER

Aandoening

- Vasculaire hypertensieaandoeningen

Synoniemen aandoening

pulmonale arteriële hypertensie; verhoogde bloeddruk in de bloedvaten van de longen

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Reata Pharmaceuticals, Inc.

Overige ondersteuning: Reata Pharmaceuticals

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bardoxolonmethyl, programma voor verlengde toegang, pulmonale hypertensie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire veiligheids uitkomstmaat:

Frequentie, intensiteit en verband tussen onderzoeksmiddel en

bijwerkingen/ernstige bijwerkingen, en verandering ten opzichte van de baseline

in de volgende beoordelingen: lichamelijk onderzoek, meting van vitale

functies, B-type-natriuretisch peptide (BNP), N-terminaal proBNP (NT-proBNP) en

gewicht.

Secundaire uitkomstmaten

niet van toepassing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De vastgestelde farmacologische effecten van bardoxolonmethyl, waaronder de suppressie van pathologische NF- κ B-signalering, ontsteking en mitochondriale dysfunctie, zijn rechtstreeks van toepassing op de behandeling van PH. Ondanks de beschikbare behandelingen is de prognose voor PH slecht, met name voor patiënten met CTD en ILD. Vanwege de ernst van de onderliggende aandoening wordt in dit onderzoek verlengde toegang verleend tot bardoxolonmethyl aan patiënten die eerder hebben deelgenomen aan klinische onderzoeken, totdat het middel via commerciële kanalen beschikbaar is (inclusief vergoeding).

Doel van het onderzoek

Het bieden van een verlengde open-label behandeling met bardoxolonmethyl als onderdeel van dit EAP en doorlopende gegevensverzameling over de veiligheid en verdraagzaamheid van bardoxolonmethyl.

Onderzoeksopzet

programma voor verlengde toegang - open label onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patiënten starten om de dag met 10 mg bardoxolonmethyl. Daarna in week 4 een eenmaal daagse dosering. De-escalatie van de dosis (vermindering tot 5 mg) is toegestaan tijdens het onderzoek indien klinisch geïndiceerd.

Inschatting van belasting en risico

De meest voorkomende bijwerkingen van bardoxolon methyl zijn:

- * Spierspasmus
- * Hypomagnesiëmie (laag magnesiumgehalte in het bloed); dit trad vooral op bij patiënten met een diabetische chronische nierziekte en ging niet gepaard met verlies van magnesium in de urine of verlies van magnesium in cellen
- * Misselijkheid
- * Verminderde eetlust
- * Gewichtsverlies in combinatie met een vermindering van de tailleomvang, dit trad vooral op bij patiënten met overgewicht
- * Vermoeidheid

Minder vaak (bij 1 tot 10 op de 100 patiënten)

- * Hoesten
- * Dysgeusie (aanhoudende metaalachtige smaak in de mond)
- * Voorbijgaand verhoogd leverenzymniveau; dit ging bij geen van de patiënten gepaard met leverletsel
- * Hoofdpijn

In eerdere onderzoeken was er bij sommige deelnemers met een chronische nierziekte in stadium 4 en een medische voorgeschiedenis van hartfalen sprake van vochtophoping. In het huidige onderzoek zijn procedures ingesteld om het risico op vochtophoping door bardoxolonmethyl te reduceren.

De prognose voor patiënten met PAH is slecht. De therapieën die momenteel beschikbaar zijn, leiden veelal niet tot voldoende functionele verbeteringen.

Eerdere onderzoeken laten zien dat patiënten baat zouden kunnen hebben bij een behandeling met bardoxolonmethyl in combinatie met optimale behandeling met vaatverwijdendegeneesmiddelen. Patiënten die deelnemen aan dit onderzoek zullen zorgvuldig gecontroleerd worden en zullen tijdens het onderzoek hun standaardbehandeling blijven ontvangen.

Contactpersonen

Publiek

Reata Pharmaceuticals, Inc.

2801 Gateway Drive Suite 150
Irving TX 75063
US

Wetenschappelijk

Reata Pharmaceuticals, Inc.

2801 Gateway Drive Suite 150
Irving TX 75063
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)

Patiënten die de behandeling naleven en deelnemen aan in aanmerking komende lopende onderzoeken, en de vereiste Einde behandeling en/of Follow-up bezoeken hebben voltooid van een eerder klinisch onderzoek met bardoxolonmethyl.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen

(Exclusiecriteria)

1. Deelname aan andere medisch-wetenschappelijke klinische onderzoeken waarin experimentele producten worden getest of op een andere dan de goedgekeurde manier worden gebruikt of voor een niet-goedgekeurde indicatie;; 2. Patiënten die in een klinisch onderzoek een ernstige bijwerking hebben opgedaan die nog aanwezig is en door de onderzoeker is beoordeeld als gerelateerd aan bardoxolonmethyl;; 3. Niet bereid om aanvaardbare anticonceptiemethoden toe te passen (geldt zowel voor mannen met een partner die een kind kan krijgen als voor vrouwen die een kind kunnen krijgen) tijdens het innemen van het onderzoeksmiddel;; 4. Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven;; 5. De patiënt is, naar de mening van de onderzoeker, niet in staat te voldoen aan de verplichtingen van het onderzoeksprotocol of is om een andere reden niet geschikt voor het onderzoek;; 6. Bekende overgevoeligheid voor een van de bestanddelen van het onderzoeksmiddel.

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:	30-08-2017
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	bardoxolonmethyl
Generieke naam:	bardoxolonmethyl

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 21-03-2017

Soort: Eerste indiening

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 19-06-2017

Soort: Eerste indiening

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 19-04-2018

Soort: Amendement

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 18-09-2018

Soort: Amendement

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 19-09-2018

Soort: Amendement

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-11-2019

Soort: Amendement

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 08-11-2019

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	EUCTR2016-004365-16-NL
CCMO	NL60468.056.17