

Een fase 4-, multicenteronderzoek voor het evalueren van beëindiging en herbehandeling bij deelnemers met tenosynoviale reusceltumor (tgct) die eerder zijn behandeld met pexidartinib

Gepubliceerd: 17-06-2020 Laatste bijgewerkt: 09-04-2024

Belangrijkste doelstelling: Percentage deelnemers dat behandelingsvrij is. Secundaire doelstellingen: - Wijziging ten opzichte van baseline in door patiënten gemelde resultaten (PRO's) (PROMIS PF, EQ-5D-5L)- Veiligheid: totaal aantal deelnemers...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON52692

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PL3397-A-U4003

Aandoening

- Wekedellenneoplasmata maligne en niet-gespecificeerd

Synoniemen aandoening

Synovitis Villinodularis Pigmentosa (SVP), Tenosynoviale reusceltumor (TGCT)

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: DAIICHI SANKYO, INC.

Overige ondersteuning: pharmaceutical industry

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Beëindiging en herbehandeling, Fase 4, Pexidartinib, Tenosynoviale reusceltumor (TGCT)

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Percentage deelnemers dat behandelingsvrij is na maand 12 en maand 24

Secundaire uitkomstmaten

Wijziging ten opzichte van baseline in door patiënten gemelde resultaten

(PRO's): gemiddelde wijziging ten opzichte van basislijn* voor PROMIS PF en

EQ-5D-5L per kwartaal voor de behandelingsvrije en de herbehandelingsperiode.

*Opmerking: baseline is keuringswaarden voor de behandelingsvrije periode van het cohort voor voortzetting van de behandeling. Baseline wordt opnieuw gestart wanneer de deelnemer de herbehandelingsperiode ingaat.

Veiligheid: incidentie van AE's/TEAE's en SAE's, ECG*s en laboratoriumonderzoek

Tumorbeoordeling: kwalitatieve beoordeling van de tumor (niet van toepassing voor de behandelingsvrije periode)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Tenosynoviale reusceltumor (TGCT) is een zeldzaam, niet-kwaadaardig neoplasma van het synovium, bursae, of peesscheden dat het gevolg is van overmatige expressie van kolonie-stimulerende factor-1 (CSF-1) en het vaakst voorkomt bij volwassenen jonger dan 40 jaar. De jaarlijkse TGCT-incidentie is naar schatting

43 gevallen per miljoen personen, waarvan ongeveer 10% van het diffuse subtype is. Chirurgische resectie, indien mogelijk, is de standaardbehandeling voor TGCT; opnieuw optreden van het diffuse subtype komt echter zeer vaak voor. Herhaalde operaties leiden vaak tot stijgende morbiditeit en functionele beperkingen van de aangedane gewrichten. De diffuse ziekte heeft vaak een uitgebreidere betrokkenheid en een slechtere kans op succesvolle behandeling met chirurgie, en kan daardoor vaak niet worden verholpen met chirurgische resectie vanwege het risico op morbiditeit of een hoog risico op terugkeer van diffuse ziekte. Pexidartinib is de eerste systemische therapie die een aanzienlijke tumorrespons bij TGCT bereikt met verbeterde symptomen en functionele resultaten; cholestatische hepatotoxiciteit is geïdentificeerd als een risico. Patiënten bij wie vroeg in hun leven TGCT wordt vastgesteld, hebben mogelijk decennia met dagelijkse behandelingen in het vooruitzicht. Deelnemers en onderzoekers moeten beslissingen nemen met betrekking tot de dagelijkse activiteiten van patiënten en de behandeling met pexidartinib voor TGCT. Er zijn meer gegevens nodig om de veilige en effectieve beëindiging en herbehandeling met pexidartinib bij deze patiëntenpopulatie volledig te begrijpen. Het doel van dit multicenter fase 4-onderzoek met deelnemers met TGCT die eerder zijn behandeld met pexidartinib bestaat uit twee delen. Bij het keuringsbezoek/de toestemming krijgen de onderzoekers en de deelnemers de keuze om de behandeling met pexidartinib voort te zetten of te beëindigen en eventueel op een later moment weer te beginnen. Bevindingen van dit onderzoek zullen belangrijke prospectieve gegevens opleveren over beëindiging en herbehandeling met pexidartinib bij eerder behandelde deelnemers met overblijvende ziekte. Uiteindelijk zal dit onderzoek zinvolle informatie bijdragen aan alle onderzoeksinformatie over behandeling met pexidartinib voor patiënten met TGCT en de veilige en effectieve beëindiging en herbehandeling met pexidartinib.

Doel van het onderzoek

Belangrijkste doelstelling:

Percentage deelnemers dat behandelingsvrij is.

Secundaire doelstellingen:

- Wijziging ten opzichte van baseline in door patiënten gemelde resultaten (PRO's) (PROMIS PF, EQ-5D-5L)
- Veiligheid: totaal aantal deelnemers in de veiligheidsanalysereeks met een AE geregistreerd tussen de keuring en het begin van de herbehandeling of de definitieve databasevergrendeling (wat zich het eerst voordoet)
- Tumorbeoordeling: evaluatie van de tumor door de onderzoeker

Onderzoeksopzet

Dit is een multicenter fase 4-onderzoek met deelnemers met TGCT (PVNS of GCT-TS) die eerder met pexidartinib werden behandeld in een van de volgende onderzoeken: PLX108-10 (ENLIVEN), PLX108-01, PL3397-A-A103, PL3397-A U126. Bij het keuringsbezoek/de toestemming krijgen de deelnemers, naar het oordeel van de onderzoeker en de deelnemer, de keuze om de behandeling met pexidartinib voort te zetten of te beëindigen en eventueel op een later moment weer te beginnen

Onderzoeksproduct en/of interventie

1. Deelnemers die ervoor kiezen de behandeling met pexidartinib voort te zetten, worden ingesloten in het cohort voor voortzetting van de behandeling. De beoordelingen van het laatste behandelingsbezoek van de deelnemer (d.w.z. het bezoek waarbij hij/zij de laatste dosis onderzoeksmiddel heeft ontvangen) van hun voorgaande onderzoek (bijv. tumorbeoordelingen, PRO-metingen en veiligheidsparameters) dienen als baselinemetingen voor het PL3397-A-U4003-onderzoek. Deze deelnemers blijven hun huidige dosering van pexidartinib gebruiken en ondergaan tijdens het onderzoek elke 3 maanden klinische beoordelingen. 2. Deelnemers die ervoor kiezen de behandeling met pexidartinib te beëindigen, worden ingesloten in de behandelingsvrije periode van het behandelingsvrije/herbehandelingscohort. De beoordelingen van het laatste behandelingsbezoek van de deelnemer van het voorgaande onderzoek (bijv. tumorbeoordelingen, PRO-metingen en veiligheidsparameters) dienen als baselinemetingen voor het PL3397-A-U4003-onderzoek. Deelnemers stoppen met de behandeling met pexidartinib en ondergaan elke 3 maanden klinische beoordelingen tijdens de behandelingsvrije periode. Herbehandeling met pexidartinib vindt plaats naar het oordeel van de deelnemer en de onderzoeker. Tumorbeoordeling, subjectieve en/of functionele metingen en veiligheid worden overwogen in het besluitvormingsproces. De reden voor het beëindigen en opnieuw beginnen van de behandeling met pexidartinib wordt vastgelegd. Deelnemers in het behandelingsvrije/herbehandelingscohort die de herbehandelingsperiode ingaan, ontvangen pexidartinib in de dosering die ze aan het einde van het voorgaande onderzoek kregen. Dosering moet plaatsvinden op een lege maag (ten minste 1 uur vóór of 2 uur na een maaltijd of snack), op ongeveer dezelfde tijden van de dag, en met tussenpozen van ongeveer 12 uur. Tijdens de herbehandelingsperiode voeren onderzoekers wekelijkse levertests uit gedurende de eerste 8 weken (2 maanden), daarna elke 2 weken gedurende 1 maand, en daarna elke 3 maanden of vaker, zoals aangegeven door de onderzoeker.

Inschatting van belasting en risico

In dit onderzoek krijgen de deelnemers de keuze om de behandeling met pexidartinib voort te zetten of te beëindigen en eventueel op een later moment weer te beginnen.

Deelname aan dit onderzoek kan meer tests omvatten dan de deelnemer gewoonlijk zou ondergaan (d.w.z. bloedafname, MRI's).

Dit onderzoek zal zinvolle informatie bijdragen aan alle onderzoeksinformatie over behandeling met pexidartinib voor patiënten met TGCT en de veilige en effectieve beëindiging en herbehandeling met pexidartinib.

Contactpersonen

Publiek

DAIICHI SANKYO, INC.

Mt. Airy Road 211
Basking Ridge, New Jersey NJ 07920-2311
US

Wetenschappelijk

DAIICHI SANKYO, INC.

Mt. Airy Road 211
Basking Ridge, New Jersey NJ 07920-2311
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)

Deelnemers moeten aan alle onderstaande criteria voldoen om in aanmerking te komen voor

insluiting in het onderzoek:

1. Momenteel ingesloten en niet gestopt met behandeling met pexidartinib in een van de volgende onderzoeken: PLX108-10 (ENLIVEN), PLX108-01, PL3397-A-A103 of PL3397-A-U126.
2. Bereid en in staat om de vragenlijsten PROMIS (schaal voor lichamelijke

functie)

en EQ-5D-5L (Europese kwaliteit van leven) in te vullen tijdens het volledige onderzoek.

3. Bereid en in staat om schriftelijk geïnformeerde toestemming (ICF) te geven voorafgaand aan alle onderzoeksgerelateerde procedures en om aan alle onderzoeksvereisten te voldoen.

4. Vrouwen die kinderen kunnen krijgen, moeten een negatieve urinezwangerschapstest hebben bij de keuring/baseline (te bevestigen met een serumzwangerschapstest, uitgevoerd tijdens het laatste behandingsbezoek van het voorgaande onderzoek) en moet worden geadviseerd een efficiënte, niet-hormonale anticonceptiemethode te gebruiken tijdens de behandeling met pexidartinib en gedurende 1 maand na de laatste dosis. Mannen met vrouwelijke partners die kinderen kunnen krijgen, moet worden geadviseerd een effectieve anticonceptiemethode te gebruiken tijdens de behandeling met pexidartinib en gedurende 1 maand na de laatste dosis. Vrouwelijke partners van mannelijke patiënten moeten tegelijkertijd effectieve anticonceptiemethoden gebruiken (hormonaal of niet-hormonaal).

Opmerking: Van een vrouw wordt gedacht dat ze kinderen kan krijgen vanaf de eerste menstruatie tot na de menopauze (geen menstruatie gedurende minimaal 12 maanden), tenzij ze permanent gesteriliseerd zijn (een hysterectomie, bilaterale salpingectomie of bilaterale ovariëctomie hebben ondergaan), bevestigd met een follikelstimulerend-hormoontestniveau (FSH) > 40 mIU/ml.

5. Mannelijke deelnemers mogen geen sperma bevriezen of doneren vanaf de keuring, tijdens het volledige onderzoek en gedurende ten minste 5 halfwaardetijden of 1 maand na de laatste toediening van het onderzoeksmiddel (de langste periode telt).

Vrouwelijke deelnemers mogen geen eicellen doneren of voor eigen gebruik laten oogsten vanaf de keuring, tijdens het volledige onderzoek en gedurende ten minste 1 maand of 5 halfwaardetijden na de laatste toediening van het onderzoeksmiddel (de langste periode telt).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Deelnemers die aan een of meer van de onderstaande criteria voldoen, komen NIET in aanmerking voor insluiting in het onderzoek

1. De deelnemer heeft een klinisch significante afwijking die tijdens de keuring door de onderzoeker is vastgesteld aan de hand van lichamelijk onderzoek, laboratoriumonderzoek of een elektrocardiogram en die, naar het oordeel van de onderzoeker, een veilige voltooiing van het onderzoek onmogelijk maakt voor de deelnemer.

2. Blootstelling aan een ander experimenteel geneesmiddel of huidige deelname aan andere therapeutische onderzoeksprocedures, naast onderzoeken met pexidartinib, binnen 1 maand voorafgaand aan het begin van de behandeling met het onderzoeksmiddel. Bekende contra-indicatie voor behandeling met, inclusief

overgevoeligheid voor, het onderzoeksmiddel of hulpstoffen in pexidartinib.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	12-01-2021
Aantal proefpersonen:	1
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Turalio
Generieke naam:	Pexidartinib

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-06-2020
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-09-2020
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-10-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-06-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-06-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-06-2022
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

EudraCT

CCMO

ID

EUCTR2020-000192-20-NL

NL74094.056.20