

Een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde, fase 2-studie ter beoordeling van de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van INCB000928 bij deelnemers met fibrodysplasia ossificans progressiva (PROGRESS)

Gepubliceerd: 29-11-2022 Laatste bijgewerkt: 10-01-2025

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-504129-38-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. Primair:-De werkzaamheid van INCB000928 bepalen voor de preventie van nieuwe HO (heterope ossificatie) bij deelnemers met FOP....

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON54122

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PROGRESS

Aandoening

- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

zeldzame bindweefselziekte

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Incyte Corporation

Overige ondersteuning: Incyte Corporation

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Fibrodysplasia, FOP, INCB000928, Ossificans

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Totaal volume van nieuwe HO zoals beoordeeld met een WBCT-scan met lage dosis (exclusief het hoofd) in week 24.

Secundaire uitkomstmaten

- Totaal aantal nieuwe uitbarstingen (op jaarbasis) vanaf de basislijn tot week 24.
- Percentage deelnemers met een klinisch betekenisvolle verbetering van de opvlammingsgerelateerde symptomen beoordeeld door de FOP-PROMPT in week 24.
- Frequentie en ernst van bijwerkingen en SAE's, inclusief de resultaten van vitale functies, ECG's, echocardiogrammen, lichamelijk onderzoek, PFT's, BMD, laboratoriumgegevens en sluiting van de epifysaire knie (≥ 12 tot < 21 jaar oud).
- Percentage deelnemers met nieuwe HO gedurende de periode van 24 weken.
- Totaal aantal nieuwe HO-laesies zoals beoordeeld met een lage dosis WBCT (exclusief het hoofd) vanaf de uitgangswaarde tot week 24.
- Totaal volume nieuwe HO zoals beoordeeld met een lage dosis WBCT (exclusief het hoofd) van week 24 tot week 48 vergeleken met de uitgangswaarde tot week 24

in

deelnemers gerandomiseerd naar placebo tijdens de dubbelblinde periode.

- Totaal aantal nieuwe opflakkingen (op jaarbasis) van week 24 tot week 48 vergeleken met de uitgangswaarde tot week 24 bij deelnemers die tijdens de dubbelblinde periode naar placebo waren gerandomiseerd.
- Percentage deelnemers met nieuwe HO van week 24 tot week 48 vergeleken met de uitgangssituatie tot week 24 bij deelnemers die tijdens de dubbelblinde periode naar placebo waren gerandomiseerd.
- Aantal nieuwe HO-laesies zoals beoordeeld met een lage dosis WBCT (exclusief het hoofd) van week 24 tot week 48 vergeleken met de uitgangswaarde tot week 24 bij deelnemers die tijdens de dubbelblinde periode naar placebo waren gerandomiseerd.
- INCB000928 PK voor plasma en/of speeksel: Cmax, tmax, Cmin en AUCt.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Zie protocol sectie 2.1

Doel van het onderzoek

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2023-504129-38-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

Primair:

-De werkzaamheid van INCB000928 bepalen voor de preventie van nieuwe HO (heterope ossificatie) bij deelnemers met FOP.

Belangrijkste secundair:

-Het verder evalueren van de werkzaamheid van INCB000928 bij het verminderen van opvlammingen en het verbeteren van symptomen i.v.m. opvlammingen.

Secundair:

- Om de werkzaamheid van INCB000928 bij het verminderen van opflakkingen en verbetering van opvlammingsgerelateerde symptomen verder te evalueren.
- Om de veiligheid en verdraagbaarheid van INCB000928 bij deelnemers met FOP te evalueren.
- Het verder evalueren van de werkzaamheid van INCB000928 bij deelnemers met FOP.
- Om de werkzaamheid van INCB000928 in week 48 te bevestigen bij deelnemers die tijdens de dubbelblinde periode naar placebo waren gerandomiseerd.
- Het karakteriseren van de PK van INCB000928 bij deelnemers met FOP.

Onderzoeksopzet

Dit is een multicentrische, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde, fase 2-studie ter beoordeling van de werkzaamheid, veiligheid, verdraagbaarheid en PK van INCB000928 tijdens een behandelingsperiode van 24 weken gevolgd door een open-label verlengingsperiode van 148 weken (inclusief OLE 1-behandelingsperiode [52 weken] en OLE 2-behandelingsperiode [96 weken]); en een 4 weken durende opvolgingsperiode. Geschat wordt dat een persoon ongeveer 3.5 jaar zal meedoen aan de studie.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Deelnemers worden 1:1 gerandomiseerd naar de INCB000928 100 mg QD behandelingsgroep of de placebogroep (~ 30 deelnemers per groep), gestratificeerd volgens gewrichtsfunctie op basis van de uitgangswaarde van de CAJIS-score. Tot 32 dagen voor screening; continue behandeling in de dubbelblinde, placebogecontroleerde periode gedurende 24 weken; een open-label verlengingsperiode van 52 weken; en een opvolgingsperiode van 4 weken.

Inschatting van belasting en risico

Zie protocol sectie 2.3 Benefit/Risk Assessment.

Contactpersonen

Publiek

Incyte Corporation

Augustine Cutt-Off 1801
Wilmington DE 19803
US

Wetenschappelijk

Incyte Corporation

Augustine Cutt-Off 1801
Wilmington DE 19803
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Mannelijke en vrouwelijke volwassenen en adolescenten van ≥ 12 jaar oud.
- Klinische diagnose van FOP (gebaseerd op de vaststelling van aangeboren misvorming van de grote tenen, episodische zwelling van de weke delen, en/of progressieve HO).
- Door de deelnemer gemelde FOP ziekteactiviteit binnen 1 jaar voor het screeningbezoek. Dit wordt gedefinieerd als pijn, zwelling en andere tekenen en symptomen in verband met FOP-opvlammingen of achteruitgang van de gewrichtsfunctie of radiografische progressie van HO (grotere of meer HO laesies) met of zonder verband met opvlammingen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- CAJIS-score ≥ 24 .
- Ernst van de FOP-aandoening die volgens de onderzoeker deelname uitsluit (bv.

ankylose van de meeste of alle gewrichten, symptomatisch thoracaal-insufficiëntiesyndroom (TIS) of terugkerende luchtweginfecties).
-Voorgeschiedenis van ongecontroleerde of onstabiele cardiovasculaire, ademhalings-, nier-, gastro-intestinale, endocriene, hematopoëtische, psychiatrische en/of neurologische aandoeningen binnen 6 maanden voor de screening

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-12-2023
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	INCB000928
Generieke naam:	Not available

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-11-2022

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-06-2023
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-10-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-02-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-03-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-05-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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
CTIS	CTIS2023-504129-38-00
EudraCT	EUCTR2021-002286-17-NL
ClinicalTrials.gov	NCT05090891
CCMO	NL78845.029.22