

Een onderzoek naar langetermijnbehandeling van autosomaal dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD) met venglustat

Dit is een samenvatting van de resultaten van een medisch wetenschappelijk onderzoek.

Het is geschreven voor het algemene publiek.

Belangrijke informatie over dit onderzoek

- **Wat is venglustat?** Venglustat is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld als mogelijke behandeling voor mensen met autosomaal dominante polycysteuze nierziekte (*autosomal dominant polycystic kidney disease*, ADPKD). Cysten zijn met vocht gevulde zakjes die zich in weefsels in elk deel van het lichaam kunnen ontwikkelen. Bij mensen met ADPKD ontwikkelen cysten zich in de nieren en dat zorgt ervoor dat de nieren niet goed werken. ADPKD is de meest voorkomende vorm van polycysteuze nierziekte (*polycystic kidney disease*, PKD). Het is ook een belangrijke oorzaak van niertransplantaties.
- **Reden voor dit onderzoek:** Dit onderzoek was een uitbreiding van het vorige onderzoek met venglustat. In beide onderzoeken wilden onderzoekers weten of het nemen van venglustat mogelijk de afname van de nierfunctie en de verergering van de ziekte zou kunnen vertragen. Ze wilden ook weten of venglustat veilig is voor mensen die het na 2 jaar behandeling blijven gebruiken, omdat ADPKD een chronische ziekte is.
- **Wat werd onderzocht:** Onderzoekers beoordeelden het effect van venglustat op hoe snel de omvang van de cysten in de nieren groeide. Ze gebruikten een bloedtest om te meten of venglustat de afname van de nierfunctie vertraagde. Voor de veiligheid beoordeelden onderzoekers venglustat gedurende het hele onderzoek op bijwerkingen.
- **Wie deed mee aan dit onderzoek:** Aan dit onderzoek deden vierentwintig volwassen mannen en vrouwen met ADPKD mee, in 8 landen over de hele wereld.
- **Resultaten van het onderzoek:** Dit onderzoek werd voortijdig beëindigd omdat venglustat de groei van niercysten of de afname van de nierfunctie bij deelnemers met ADPKD niet vertraagde.
- **Veiligheid:** Over het algemeen vertoonde de veiligheidsanalyse geen veiligheidsprobleem met venglustat. Er werden geen bijwerkingen die verband houden met venglustat gemeld bij deelnemers.

Volledige naam van het onderzoek: Multicenter, open-label uitbreidingsonderzoek om de werkzaamheid en veiligheid op lange termijn te karakteriseren van vroege versus uitgestelde behandeling met venglustat (GZ/SAR402671) bij patiënten met een risico op snel progressieve autosomaal dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD)

Neem geen beslissing op basis van een enkel onderzoek

Onderzoekers kijken naar de resultaten van vele onderzoeken. Dit is om te beslissen of een geneesmiddel veilig en werkzaam is. Ze moeten ook begrijpen hoe het werkt in het lichaam.

- Deze samenvatting toont de resultaten uit slechts één onderzoek.
- Andere onderzoeken kunnen andere resultaten opleveren.

Dit betekent dat u geen beslissingen moet nemen op basis van een enkel onderzoek. Deze resultaten zijn alleen ter informatie.

1 Algemene informatie over het onderzoek

Waarom het onderzoek werd uitgevoerd

Om uit te zoeken of venglustat de verergering van ADPKD en de afname van de nierfunctie kan vertragen en controleren op mogelijke bijwerkingen van het gebruik van venglustat bij volwassen mannen en vrouwen met ADPKD.

Wat is ADPKD?

Autosomaal dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD) is de meest voorkomende vorm van PKD. Bij mensen met ADPKD ontwikkelen zich clusters van cysten in de nieren en dat zorgt ervoor dat de nieren niet goed werken. ADPKD is ook een belangrijke oorzaak van niertransplantaties.

Waar en wanneer het onderzoek plaatsvond

Dit onderzoek vond plaats in 8 landen. Het begon in februari 2021 en eindigde in juli 2021.

2 Wie nam aan het onderzoek deel?

Wie aan het onderzoek mocht deelnemen

Onderzoeksdeelnemers waren volwassen mannen en vrouwen met ADPKD die in een eerder onderzoek behandeling met venglustat hadden voltooid.

Wie niet aan het onderzoek mocht deelnemen

Deelnemers mochten niet aan het onderzoek deelnemen als ze zwanger waren of borstvoeding gaven of medische problemen, infecties of klinische tekenen en symptomen hadden die erop wezen dat het lichaam het onderzoeksmiddel niet op de juiste wijze zou kunnen verwerken.

Over de mensen die aan het onderzoek deelnamen

Van de in totaal 24 mensen met ADPKD die in het onderzoek waren ingeschreven, kregen 23 mensen venglustat:

- Er waren 15 mannen en 9 vrouwen.
- De jongste was 32 jaar en de oudste was 52 jaar.
- Het lichaamsgewicht varieerde van 53 tot 125 kilogram.
- Deelnemers kwamen uit:
 - Australië: 1 persoon
 - België: 1 persoon
 - Duitsland: 4 personen
 - Japan: 10 personen
 - Republiek Korea: 1 persoon
 - Nederland: 3 personen
 - Spanje: 2 personen
 - Verenigde Staten: 2 personen

3 Welke geneesmiddelen werden onderzocht?

Alle deelnemers moesten worden behandeld met één dosis van 15 milligram venglustat eenmaal daags, elke dag gedurende 24 maanden.

Over het onderzoeksmiddel venglustat

Venglustat is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld als mogelijke behandeling voor mensen met verschillende zeldzame ziekten, waaronder ADPKD. Het werd ontworpen om de hoeveelheid lipiden of vetten in het lichaam die kunnen bijdragen aan de afname van de nierfunctie te verlagen.

Hoe werd het geneesmiddel gegeven?

Venglustat werd gedurende het onderzoek eenmaal daags oraal toegediend in de vorm van een capsule van 15 milligram.

4 Resultaten van het onderzoek

Het onderzoek werd vroegtijdig beëindigd. Hoewel venglustat wel de hoeveelheid vetten in het lichaam verlaagde zoals het was bedoeld, leek de verlaging van deze lipiden de ziekte niet te behandelen of te stoppen.

5 Wat waren de bijwerkingen?

Er bestaan verschillende manieren om veiligheidsgegevens te laten zien. In deze samenvatting gebruiken we de methode van het Europees Geneesmiddelenbureau. We geven een samenvatting van de bijwerkingen die tijdens het onderzoek zijn opgetreden. Dit betekent dat we de gezondheidsproblemen beschrijven die mensen hadden en waarvan de onderzoeker denkt dat deze verband zouden kunnen houden met het geneesmiddel dat in het onderzoek werd gebruikt (inclusief het nepgeneesmiddel). Onderzoeksresultaten worden ook op andere plaatsen gepresenteerd en beschikbaar gemaakt voor het publiek, waarbij andere referentiemethoden worden gebruikt.

Bijwerkingen zijn gezondheidsproblemen die tijdens het onderzoek bij een onderzoeksdeelnemer optreden. Deze gezondheidsproblemen worden 'bijwerkingen' genoemd, omdat de onderzoeker denkt dat ze verband kunnen houden met het geneesmiddel dat in het onderzoek werd gebruikt.

Hoeveel mensen hadden bijwerkingen?

Geen enkele deelnemer had bijwerkingen die verband houden met venglustat.

Wat vertellen deze resultaten ons?

Dat venglustat veilig was om aan deelnemers aan dit onderzoek te geven.

6 Hoe heeft dit onderzoek mensen geholpen?

Dit onderzoek heeft wetenschappers geholpen om ADPKD beter te begrijpen door aan te tonen dat hoewel venglustat wel de hoeveelheid vetten die zich in niercellen kunnen ophopen, verlaagt, de verlaging niet voldoende was om de groei van niercysten of de afname van nierfuncties bij volwassenen met ADPKD te vertragen.

7 Waar vind ik meer informatie over dit onderzoek?

Resultaten van medisch wetenschappelijke onderzoeken kunnen op verschillende plaatsen en in veel landen beschikbaar zijn voor het publiek. Zoals uitgelegd in sectie 5 worden de onderzoeksresultaten op andere plaatsen met verschillende referentiemethoden weergegeven.

Als u meer informatie wenst, en als deze beschikbaar is, moet u de referentienummers van het onderzoek gebruiken. De onderstaande lijst bevat die nummers, gebruikt door verschillende organisaties over de hele wereld:

Onderzoeksnummer: LTS15823

Productcode van de opdrachtgever: GZ/SAR402671

EudraCT-nummer: 2020-004400-34

Nummer van National Clinical Trial (NCT): NCT04705051

Universal Trial Number (UTN) van de Wereldgezondheidsorganisatie (*World Health Organization*, WHO): U1111-1256-8805

Farmaceutisch informatiecentrum Japan: jRCT2031200348
(<https://jrct.niph.go.jp/en-latest-detail/jRCT2031200348>)

U vindt meer informatie over dit onderzoek of de resultaten ervan in het Engels op de volgende website(s):

- www.clinicaltrials.gov of
(<https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04705051?term=lts15823&draw=2&rank=1>)

Meer informatie over dit onderzoek kan worden gevonden door een internetzoekopdracht uit te voeren in beschikbare zoekmachine(s), met onderzoeksnummer LTS15823

8 Wie is de opdrachtgever van dit onderzoek?

Opdrachtgever: Sanofi

Contact opnemen via: Contact-Us-PLS@sanofi.com

Om ons te helpen uw e-mail te beantwoorden, moet u de volgende informatie daarin aangeven (kopiëren of typen):

Mijn voorkeurstaal:

Mijn land:

Mijn onderzoekscode:

Mijn vraag: