

Multi-center klinische studie bij patiënten met de ziekte van Stargardt om de veiligheid en werkzaamheid van soraprazan testen

Soraprazan is een geneesmiddel dat momenteel wordt ontwikkeld voor de behandeling van patiënten met de ziekte van Stargardt. Dit middel wordt onderzocht met een klinische studie in meerdere oogheelkundige centra in Nederland, Duitsland, het Verenigd Koninkrijk en Italië (voor contactgegevens, zie hieronder).

Soraprazan werd oorspronkelijk ontwikkeld om de productie van maagzuur te remmen om refluxziekte te behandelen. Soraprazan is bij enkele honderden patiënten met refluxziekte getest. Het veroorzaakte geen ernstige bijwerkingen. De ontwikkeling werd echter gestopt omdat er veel andere maagzuurremmers op de markt waren.

Een onderzoek bij apen toonde aan dat soraprazan lipofuscine verwijderde uit het netvlies, het lichtgevoelige deel van het oog. Bij de ziekte van Stargardt is er een probleem wat ervoor zorgt dat lipofuscine ophoopt in het netvlies. Omdat soraprazan lipofuscine uit het netvlies verwijderd, kan dit het eerste middel zijn wat helpt tegen de ziekte van Stargardt.

Het huidige onderzoek kijkt naar de veiligheid en de effectiviteit van een behandeling met soraprazan. Niet elke patiënt die aan dit onderzoek deelneemt, krijgt soraprazan. Twee van de drie proefpersonen krijgt soraprazan en een van de drie proefpersonen placebotabletten die lijken op soraprazan tabletten maar geen actief bestanddeel hebben. Dit is nodig om zeker te weten of soraprazan patiënten met de ziekte van Stargardt kan helpen. Loting bepaalt welke behandeling gegeven wordt. Zowel patiënt, als de onderzoeker weten niet in welk middel gegeven wordt. Als het voor uw gezondheid belangrijk is, kan dit wel worden opgezocht.

Deelnemers aan de studie zullen dagelijks 2 tabletten soraprazan of een placebo moeten innemen gedurende 52 weken. Voor het onderzoek is het nodig dat deelnemers 11 keer in 56 weken naar het ziekenhuis komen. Overnachtingen zijn niet gepland.

Tijdens de studie zullen er verschillende metingen en onderzoeken plaatsvinden waaronder: meting van het gezichtsvermogen (refractie) bij hoge en lage helderheid, meting van leessnelheid, vragenlijsten met betrekking tot kwaliteit van leven, microperimetrie, kwantitatieve autofluorescentie, scans van uw netvlies (OCT) en foto's van uw netvlies (kleuren fundus fotografie).

Sommige centra kunnen ook adaptieve optica en pupillografische campimetrie toepassen.

Alleen patiënten met een genetisch bevestigde ziekte van Stargardt (ten minste twee ABCA4-mutaties) en begin van de eerste klachten voor de leeftijd van 45 jaar kunnen deelnemen aan de studie. Zowel mannen als vrouwen mogen meedoen. Patiënten mogen alleen deelnemen wanneer zij een gezichtsvermogen tussen de 20% en 80% (0.2 tot 0.8) hebben en wanneer de waarde voor autofluorescentie verhoogd is.

Patiënten mogen niet deelnemen aan deze studie als ze geen geneesmiddelen verdragen die de zuurgraad in de maag verminderen. Andere ziekten kunnen de deelname aan het onderzoek belemmeren. Denk hierbij aan afwijkende bloedresultaten of andere oogafwijkingen zoals oogontstekingen of een hoge oogdruk. De ogen moeten daarnaast geschikt zijn voor de metingen die in deze studie worden gedaan. Dat wil zeggen dat de pupil goed moet kunnen verwijden en dat het mogelijk moet zijn om duidelijke foto's te maken van de achterkant van het oog. Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven, kunnen niet meedoen aan dit onderzoek. Gelijktijdige deelname aan andere klinische onderzoeken wordt niet geaccepteerd.

Patiënten met de ziekte van Stargardt die geïnteresseerd zijn in deelname aan het onderzoek, verwijzen wij voor meer gedetailleerde informatie graag naar:

Radboudumc Trialcentrum Oogheelkunde

Philips van Leydenlaan 15

6525 EX Nijmegen

Onderzoekers:

- De hoofdonderzoeker Prof. dr. C.B. Hoyng
- Studie-coördinator, arts-onderzoeker, drs. P.P.A. Dhooge

Telefonisch te bereiken op 024-3613212

trialcentrum.ohk@radboudumc.nl

<https://www.radboudumc.nl/afdelingen/oogheelkunde/trialcentrum-oogheelkunde>

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2

2333 ZA Leiden

Onderzoeker:

- de hoofdonderzoeker Prof. dr. C.J.F. Boon

Studie-coördinator / Medewerkers trial bureau:

- De studie-coördinator mevr. F.Bijker

Telefonisch te bereiken op 071-5266590 of 071-5298258

f.bijker@lumc.nl / oogtrial@lumc.nl

Deze informatieve brief heeft ethische goedkeuring gekregen op 1 april 2019