

## **Informatie over Koude AIHA studie: Sobi.PEGCET-101 studie - koude agglutinineziekte (CAD)**

In dit klinische onderzoek wordt de werkzaamheid en veiligheid van pegcetacoplan onderzocht bij patiënten met koude agglutinineziekte/koude AIHA (Cold agglutinin disease - CAD).

### **Doel onderzoek**

CAD is een ziekte die ervoor zorgt dat het immuunsysteem van het lichaam de rode bloedcellen aanvalt en vernietigt. Dit wordt getriggerd door koude temperaturen en kan klachten veroorzaken die samenhangen met bloedarmoede zoals vermoeidheid en duizeligheid. Het wordt ook hemolytische anemie met koude antilichamen genoemd.

Deze studie onderzoekt:

- Of het onderzoeksmiddel, pegcetacoplan, de bloedarmoede en de klachten daarvan die patiënten met CAD ervaren, kan verbeteren.
- Hoe goed mensen het gebruik van pegcetacoplan verdragen (bijwerkingen).

Toelichting:

Pegcetacoplan is een onderzoeksmiddel dat gericht is op het complementsysteem, een deel van het menselijk afweersysteem dat een belangrijke rol speelt bij de bloedafbraak bij patiënten met CAD.

### **Wordt er geloot**

Ja, in deel A van het onderzoek (meer informatie hieronder). In de eerste 24 weken van het onderzoek worden deelnemende patiënten door loting verdeeld in 2 groepen. Beide groepen worden met elkaar vergeleken. Patiënten weten vooraf niet in welke groep ze terechtkomen. Het effect van pegcetacoplan wordt dus vergeleken met het effect van een placebo. Een placebo is een product zonder de werkzame stof. In deel B en C van de studie krijgen alle deelnemers pegcetacoplan.

### **Voorwaarden**

De voorwaarden voor deelname aan dit onderzoek zijn onder andere:

- Patiënten van 18 jaar of ouder met een bevestigde diagnose van primaire CAD
- Patiënten met een hemoglobinegehalte van 5.6 mmol/L of lager

### **Behandeling**

Het onderzoek bestaat uit een screeningsperiode van maximaal vier weken en drie opeenvolgende behandelingsperiodes (Deel A t/m deel C):

- Deel A: Patiënten worden behandeld met pegcetacoplan of placebo tweemaal per week, dit wordt toegediend als een subcutaan infuus (infuus onder de huid). Dit deel van de behandelingsperiode zal 24 weken duren.
- Deel B: Tijdens het tweede deel van het onderzoek zullen alle patiënten gedurende maximaal 24 weken tweemaal per week pegcetacoplan krijgen.
- Deel C: Na voltooiing van deel B zullen de patiënten die baat hebben bij de behandeling zonder belangrijke bijwerkingen tweemaal per week pegcetacoplan blijven ontvangen gedurende maximaal 48 weken.

Deelname aan dit onderzoek zal ongeveer 2 jaar duren.

***De behandeling wordt gestopt als***

- De behandelende arts vindt dat de nadelen voor de patiënt, bijvoorbeeld door bijwerkingen, groter zijn dan de mogelijke voordelen.
- De patiënt zelf besluit te stoppen.

***Bijwerkingen***

Iedere behandeling kan bijwerkingen hebben. Mogelijke bijwerkingen van het onderzoek naar deze nieuwe behandeling zijn:

- Hoofdpijn, zwelling, huiduitslag, pijn of jeuk op de plaats van injectie, misselijkheid, diarree.

***Extra belasting voor patiënt***

- Deelnemende patiënten bezoeken het ziekenhuis regelmatig tijdens het onderzoek.
- Deelnemende patiënten moeten onder andere de volgende tests en procedures ondergaan:
  - Bloedafnames;
  - Een beenmergpunctie, indien er geen werd gedaan binnen 1 jaar voorafgaand aan de start van het onderzoek.
- Verdere informatie zal worden gegeven in de patiënteninformatie tijdens de geïnformeerde toestemmingsprocedure.

***Deelnemende ziekenhuizen***

Onderstaande ziekenhuizen nemen deel aan het onderzoek. Het kan zijn dat uw ziekenhuis niet genoemd wordt, maar wel aan het onderzoek deelneemt. Informeer hiernaar bij uw arts. U kunt indien van toepassing verwezen worden naar een deelnemend ziekenhuis.

- Amsterdam UMC

***Onderzoeksgegevens***

***Wetenschappelijke titel***

A Phase 3, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegcetacoplan in Patients with Cold Agglutinin Disease (CAD)

***Fase onderzoek***

3

***Maximaal aantal patiënten***

57 wereldwijd

***Initiatiefnemer:***

Dit onderzoek is opgezet door Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi) en wordt gedaan door artsen in verschillende ziekenhuizen wereldwijd.

***Hoofdonderzoekers:***

De hoofdonderzoekers per deelnemend ziekenhuis zijn:

- Dr. J.M.I. Vos, hematoloog Amsterdam UMC

***Goedkeuring***

Het onderzoek naar deze nieuwe behandeling is getoetst door de medisch-ethische toetsingscommissie van Amsterdam AMC. Deze heeft geoordeeld dat het verantwoord is om de medewerking van patiënten te vragen. Voor meer informatie zie: [www.ccmo.nl](http://www.ccmo.nl).

Registratienummer trialregister:

- Register CCMO: 80480.018.22
- ClinicalTrials.gov: NCT05096403

**Meer informatie**

*Nederlandse titel*

Een fase 3, gerandomiseerd, dubbelblind, placebo-gecontroleerd multicenter onderzoek om de werkzaamheid en veiligheid van pegcetacoplan te evalueren bij patiënten met koude agglutinineziekte (CAD)

*Contact*

Voor meer informatie over het onderzoek kunt u contact opnemen met:

Dr. J.M.I. Vos, hematoloog Amsterdam UMC- te bereiken via [hemat.trial@amsterdamumc.nl](mailto:hemat.trial@amsterdamumc.nl)