

Informatie over warme AIHA studie: Lumina 3 studie - warme auto-immuun hemolytische anemie

In dit klinische onderzoek wordt de werkzaamheid en veiligheid van rilzabrutinib onderzocht in patiënten met warme auto-immuun hemolytische anemie (wAIHA)

Achtergrond

Auto-immuun hemolytische anemie, warme type wordt beschouwd als een zeldzame autoimmuunziekte omdat de natuurlijke afweer van het lichaam antistoffen produceert tegen gezonde rode bloedcellen. Dit proces leidt tot het voortijdig afbreken van gezonde rode bloedcellen, wat resulteert in een laag aantal rode bloedcellen in het bloed. Een aandoening die bloedarmoede (anemie) wordt genoemd. Rode bloedcellen bevatten een eiwit dat hemoglobine wordt genoemd, dat helpt om zuurstof van de longen naar alle weefsels van het lichaam te vervoeren. De bloedarmoede bij mensen met auto-immuun hemolytische anemie, kan zorgen voor vermoeidheid, kortademigheid, concentratieproblemen, een bleke huidskleur, geel worden van de huid en het oogwit (geelzucht), donkere urine, en vergroting van de milt (een orgaan linksboven in de buik).

Er zijn verschillende behandelingen mogelijk, maar die zijn niet altijd effectief en/of hebben bijwerkingen. Daarom wordt gezocht naar nieuwe vormen van behandeling.

Van rilzabrutinib is bekend dat het effectief en veilig is bij patiënten met autoantistoffen tegen bloedplaatjes (autoimmuun-trombopenie), een aandoening die erg lijkt op AIHA, en is voor die ziekte nu ook goedgekeurd. Daarom is de vraag of rilzabrutinib ook geschikt zou zijn voor de behandeling van AIHA.

Doel onderzoek

Het doel van dit klinisch onderzoek is het beoordelen van de werkzaamheid en veiligheid van Rilzabrutinib pillen bij mensen met autoimmuun hemolytische anemie, warmte-type (warme auto-immuun hemolytische anemie, wAIHA).

Wordt er geloot

Ja, in de eerste 24 weken van het onderzoek worden deelnemende patiënten door loting verdeeld in 2 groepen (meer informatie hieronder). Beide groepen worden met elkaar vergeleken. Patiënten weten vooraf niet in welke groep ze terechtkomen. Het effect van rilzabrutinib wordt dus vergeleken met het effect van een placebo. Een placebo is een product zonder de werkzame stof. In deel 2 van de studie (vanaf 24 weken) krijgen *alle* deelnemers rilzabrutinib, indien zij hier baat van hebben kunnen ze dit in deel 3 continueren.

Voorwaarden

De voorwaarden voor deelname aan dit onderzoek zijn onder andere:

- Patiënten van 18 jaar of ouder met een bevestigde diagnose van primaire wAIHA
- Patiënten met een hemoglobinegehalte van 6,3 mmol/L of lager
- Ten minste eerdere behandeling met corticosteroïden (zoals prednison) met geen of onvoldoende effect, tenzij er zwaarwegende redenen zijn dit niet te gebruiken.
- Ook mogelijk na behandeling met andere middelen, mits deze lang genoeg gestaakt zijn

Aanvullende geschiktheidscriteria worden beoordeeld door de onderzoeksarts of het personeel tijdens het geschiktheidsonderzoek voordat u in het onderzoek wordt ingeschreven. Niet alle personen komen in aanmerking voor dit onderzoek.

Behandeling

Het onderzoek bestaat uit een screeningsperiode van maximaal 4 weken en drie opeenvolgende behandelingsperioden):

- Deel 1: 2/3 van de patiënten wordt behandeld met rilzabrutinib en 1/3 met placebo dagelijks, dit wordt toegediend als een tablet. Dit deel van de behandelingsperiode zal 24 weken duren.
- Deel 2: Tijdens het tweede deel van het onderzoek zullen alle patiënten gedurende maximaal 28 weken rilzabrutinib krijgen
- Deel 3: Na voltooiing van deel 2 zullen degenen die baat hebben bij de behandeling zonder belangrijke bijwerkingen dagelijks rilzabrutinib blijven ontvangen gedurende minimaal 52 weken of totdat het product in de handel verkrijgbaar wordt

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 behandeling zijn:

- Hoofdpijn, buikpijn, misselijkheid, diarree.

Extra belasting voor patiënt

- Deelnemende patiënten bezoeken het ziekenhuis elke week gedurende de eerste 2 weken, nadien elke 2 weken tot week 24, in fase 2 en 3 zal de visite frequentie afnemen
- Deelnemende patiënten moeten onder andere de volgende tests en procedures ondergaan:
 - o Bloedafnames (in totaal ongeveer 17 bloedafnames gedaan gedurende het volledige eerste deel van het onderzoek);

Deelnemende ziekenhuizen

Onderstaande ziekenhuizen nemen deel aan het onderzoek. Informeer hiernaar bij uw arts. U kunt indien van toepassing verwezen worden naar een deelnemend ziekenhuis.

- Amsterdam UMC

Hoofdonderzoeker: Dr. S.J. Bernelot Moens

Contactgegevens: hemat.trial@amsterdamumc.nl

- LUMC

Hoofdonderzoeker: Drs. M. Jalink

Contactgegevens: rvkh@lumc.nl

Onderzoeksgegevens

A phase 3, multicenter, randomized, double-blind, placebocontrolled, parallel-group study with an open-label period and long-term extension to assess the efficacy and safety of rilzabrutinib in participants with warm autoimmune hemolytic anemia (wAIHA)

Fase onderzoek

3

Maximaal aantal patiënten

90 wereldwijd, waarvan naar verwachting 5 in Nederland.

Initiatiefnemer:

Dit onderzoek is opgezet door Sanofi-Aventis en wordt gedaan door artsen in verschillende ziekenhuizen wereldwijd.

Goedkeuringen en registratienummer in het onderzoek register

Te verstrekken door regelgevend team van Sanofi