

Formulier Melden einde studie

Indien het onderzoek niet zal starten in Nederland/nooit is gestart in Nederland kunt u dit kenbaar maken door het invullen van het formulier voortgangsrapportage. Gebruik in dat geval niet dit formulier melden einde studie. Vragen? Bel met de CCMO (070-3406700) of mail naar ccmo@ccmo.nl.

A1. Opdrachtgever van het onderzoek (verrichter volgens WMO):

Bedrijf/organisatie: Khondrion B.V
Afdeling: Clinical Operations
Adres: Novio Tech Campus
Gebouw M, postbus nummer C
Transistorweg 5 C
Postcode, plaats: 6534 AT Nijmegen

Naam contactpersoon: [REDACTED]
Email adres contactpersoon: [REDACTED]@khondrion.com
Telefoon contactpersoon: +31 (0) [REDACTED]

A2. Titel van het onderzoek: ***A randomized placebo controlled, double-blind phase II study to explore the safety, efficacy and pharmacokinetics of sonlicromanol in children with genetically confirmed mitochondrial disease***

A3. Dossiernummer ToetsingOnline: **NL75221.091.20**

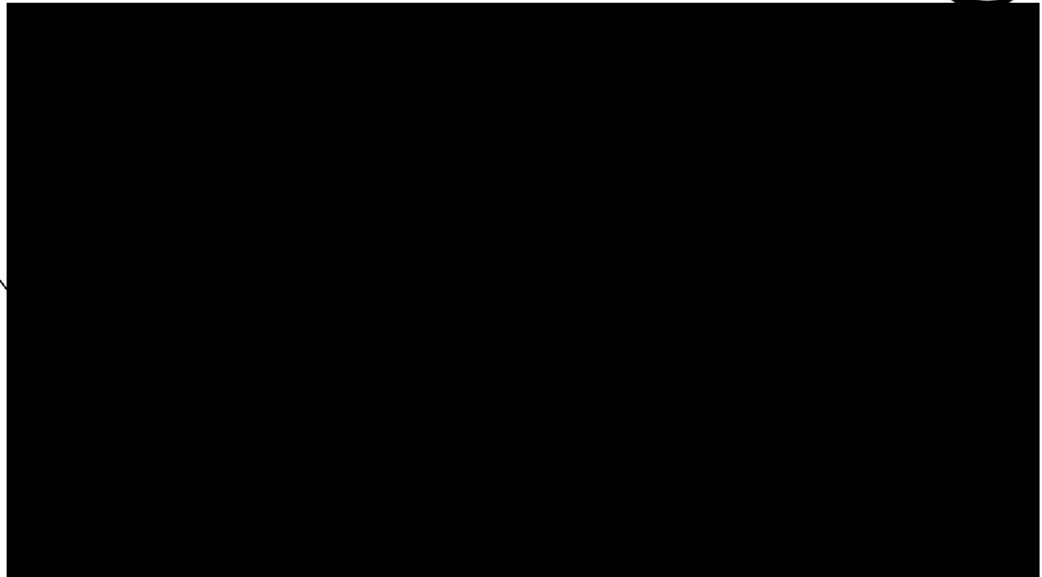
A4. Aantal geïncludeerde proefpersonen per goedgekeurd deelnemend centrum in NL
Centrum/aantal proefpersonen

Op de enige investigational site in Nederland, het Radboudumc Nijmegen kwamen 16 [REDACTED] pediatrische patiënten in aanmerking voor screening, waarvan er 4 niet voldeden aan het GMFM-88 $\leq 96\%$ -criterium. Van de 12 overgebleven patiënten werden er 6 opgenomen in de eerste PK-fase van de proef (n=3, 12 tot <18 jaar; n=3, 6 tot <12 jaar) en alle 12 werden opgenomen in het 6 maanden durende gerandomiseerde placebo-gecontroleerde gedeelte van de studie.

4 van de 12 patiënten (33,3%) trokken zich terug, vanwege protocolaire overtreding (1), bijwerking (1), intrekking van toestemming (1) en niet-naleving van de behandeling (1). In beide leeftijdsgroepen voltooiden 4 patiënten de studie.

51.1d

51.1c



In beide leeftijdsgroepen voltooiden 4 patiënten de studie.

A5. Op welke datum is de eerste proefpersoon geïncludeerd voor het onderzoek?
12 april 2021 (Screening: 26 maart 2021)

A6. Op welke datum is het onderzoek beëindigd in Nederland?
20 december 2024

A7. Is het onderzoek wereldwijd beëindigd?
 ja
 nee
X nvt, studie vond alleen in NL plaats

A7a. Zo ja, op welke datum?:

A7b. Zo ja, hoeveel proefpersonen zijn er wereldwijd geïncludeerd?

Is het onderzoek voortijdig beëindigd?

X ja
 nee

A8a. Zo ja, wat is de reden?
 veiligheid
 gebrek aan effectiviteit
X te weinig proefpersonen

A8b. Wat is de rechtvaardiging voor de voortijdige beëindiging?

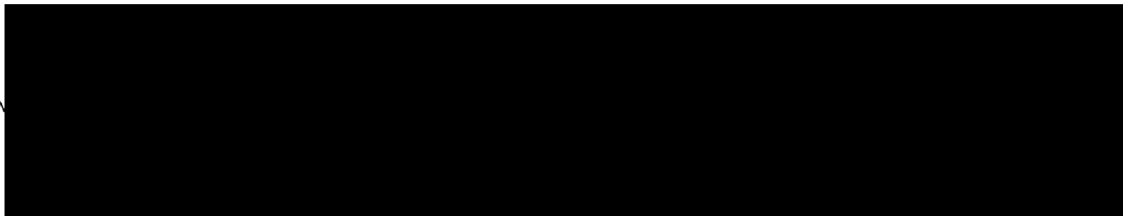
De studie had als doel 24 pediatrische patiënten te includeren, waarvan de eersten in begin 2021 werden gerekruteerd. Na bijna vier jaar blijkt dat de strenge inclusiecriteria en de door de pediatrische patiënten als intensief en zeer belastend ervaren studie procedures de haalbaarheid van de studie hebben ernstig hebben belemmerd.

5.1.1c

5.1.2a

5.1.2a

Op de Radboudumc-locatie was het lastig om nieuw gediagnosticeerde patiënten te vinden, aangezien alle bekende patiënten al op mogelijke geschiktheid waren beoordeeld. Bovendien gaf de feedback van patiënten en familieleden aan dat de studieprocedures als zeer belastend werden gezien. Dit perspectief zal zijn gedeeld met de hechte PMD-gemeenschap, met waarschijnlijke negatieve gevolgen voor elke poging tot verdere rekrutering.



A8c. Hoeveel proefpersonen namen nog deel aan het onderzoek op het moment dat het onderzoek werd stopgezet?
Op het moment dat de studie werd stopgezet namen geen patiënten del aan de studie. Last Subject Last Visit: 15-07-2022


A8d. Wat is de procedure voor het informeren en behandelen van proefpersonen die nog deelnamen aan het onderzoek op het moment dat het onderzoek werd stopgezet?
Niet van toepassing, zie vraag A8c.

A8e. Wat zijn de mogelijke gevolgen voor de verwerking van de gegevens van het onderzoek? **Er zal een 'abbreviated' Clinical study Report (CSR) worden geschreven. Dit CSR zal (ten minste) een beschrijvende analyse van de verzamelde data bevatten en een volledige bespreking van alle veiligheidsgegevens.**

Binnen één jaar nadat de studie is beëindigd moet een samenvatting met resultaten en conclusies van het onderzoek bij de toetsingscommissie worden ingediend. U kunt dit doen door gebruik te maken van de knop "Maak onderzoeksresultaat" in ToetsingOnline. Andere publicaties over het onderzoek kunnen ook in ToetsingOnline geupload worden via de knop "Maak onderzoeksresultaat".

Naam (contactpersoon namens de verrichter):

 Khondrion B.V.

Handtekening: 

Datum: 15-01-2025