

Werkgroep klinisch onderzoek SCA (PolyQ)-aandoeningen

Op 28 april zijn de leden van de werkgroep voor het eerst bij elkaar geweest om te praten over een klinisch onderzoek in Nederland van BioBlast Pharma.

De werkgroep bestaat uit de volgende personen:

- Dr. B. Van de Warrenburg (neuroloog, Radboud UMC)
- Dr. J. De Vries (neuroloog, UMCG)
- Dr. C. Verschuuren-Bemelmans (klinisch geneticus, UMCG)
- Dr. H. Engel (klinisch chemicus, Isala Zwolle) (familie van SCA1 patiënten)
- Drs. C. Van Doorne (medisch bioloog) (familie van SCA6 patiënten)
- H. Van Lambalgen (secretaris, ADCA Vereniging)

De uitgangspunten verschillen behoorlijk van wat er besproken is met BioBlast in Londen gedurende het euro-Ataxia congres in maart dit jaar.

SCA3 fase 3 klinische studie

De studie vindt plaats in 4 centra en wordt volledig gefinancierd en georganiseerd door BioBlast.

- Bonn (Duitsland) – 15 patiënten
- Londen (Engeland) – 15 patiënten
- Californië (USA) – 20 patiënten
- Boston (USA) – 20 patiënten

We kunnen in Nederland niet als een vijfde centrum meedoen. De aantallen patiënten die mee kunnen doen liggen vast. Er kunnen dus geen extra patiënten instromen.

SCA1, SCA2 en SCA6 fase 3 klinische studie

In Londen is besproken dat Nederland samen met de groepen in Bonn en Londen een fase 3 studie zouden doen naar SCA1, SCA2 en SCA6. Dit blijkt nu niet zo te zijn. Bonn en Londen doen vooralsnog niet mee.

SCA6 valt helemaal af. Dit omdat de progressie van SCA6 ten opzichte van SCA1, SCA2 en SCA3 veel langzamer is. Je zou dan, om een statische verantwoorde uitspraak te kunnen doen over de effectiviteit van Trehalose (Cabaletta), de patiënten twee jaar lang een infuus moeten toedienen. Dit is op dit moment ethisch niet verantwoord.

Voorstel BioBlast

BioBlast wil heel graag een SCA1 en SCA2 studie in Nederland/Vlaanderen met name vanwege het snelst progressieve verloop van SCA1. Met andere woorden – als Trehalose effectief is dan zal dit het makkelijkst aan te tonen zijn bij SCA1 patiënten.

Het idee van BioBlast is dat de studie in Nederland een “investigator initiated study” zal worden. De studie wordt dan gestart en gemanaged door een professional waarbij

BioBlast volledig support zal verlenen zoals voor de medicatie, het protocol en dergelijke.

Het betreft dan een kleine studie met 10 tot 20 patiënten voor SCA1 en hetzelfde aantal voor SCA2, waarvan 2/3 werkelijk het infuus zal krijgen en 1/3 niet (placebogroep).

Werkgroep

De werkgroep maakt zich zorgen over het kleine aantal patiënten dat meedoet aan de verschillende studies. Bij een klein aantal patiënten is het moeilijker om de effectiviteit van een behandeling aan te tonen. We gaan hierover in overleg met BioBlast waarbij we ook blijven proberen om te participeren als 5^e centrum in de SCA3 studie.

Er zal contact opgenomen worden met Dr. Thomas Klockgether in Bonn en Dr. Paola Giunti in Londen om het punt van geringe aantallen te bespreken en om te bespreken of zij hun studie misschien ook willen uitbreiden met SCA1 en/of SCA2. We gaan ook met BioBlast bespreken of zij dit willen ondersteunen en managen.

De werkgroep maakt zich zorgen over het feit dat de studie niet “full sponsored” is door BioBlast. Het is een dure studie vanwege de wekelijkse infusen, het reizen van de patiënten en de maandelijkse controle (o.a. SARA scores). Ook is het op deze manier noodzakelijk om de ethische commissie van het ziekenhuis te overtuigen om goedkeuring aan het onderzoek te geven. De werkgroep verwacht hier problemen. We gaan met BioBlast bespreken of ze de studie volledig willen sponsoren en managen.