

Rapport og sluttmelding Skjema for løpende rapport eller sluttmelding til de regionale komiteer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk (REK)

2016/946-41

Dokument-id: 1018201 Dokument mottatt 23.04.2018

Intravenøs infusjon av plasminogenkonsentrat til pasienter med plasminogenmangel - en fase 2/3 studie (2016/946)

1. Generelle opplysninger

a. Prosjektleder

Navn:	Per Morten Sandset
Akademisk grad:	Dr.med.
Klinisk kompetanse:	Spesialist i indremedisin og hematologi
Stilling:	Viserektor / overlege
Arbeidssted:	UiO / OUS Rikshospitalet
Arbeidsadresse:	Avdeling for blodsykdommer
Postnummer:	0424
Sted:	Oslo
Telefon:	97591745
Mobiltelefon:	97591745
E-post adresse:	p.m.sandset@medisin.uio.no

b. Prosjekt

Hvilket prosjekt gjelder sluttmeldingen/rapporten?

Intravenøs infusjon av plasminogenkonsentrat til pasienter med plasminogenmangel - en fase 2/3 studie (2016/946)

EudraCT-nummer 2015-005490-20

2. Sluttmelding/rapport og etisk vurdering

Sluttmelding

Kortfattet, allment forståelig framstilling av prosjektets konklusjoner. Dette gjelder både positive og negative funn.

Prosjektet er en fase 2/3 studie på effekten av plasminogenkonsentrat rensset fra humant plasma til pasienter med alvorlig plasminogenmangel. Det ble inkludert totalt 15 pasienter hvorav 3 pasienter i Norge. Behandling hadde generelt meget god objektiv effekt bedømt ved effekt på lesjoner, spesielt typisk konjunktivale lesjoner (conjunctivitis lignosa), sårtilheling, men også på interne lesjoner (munnslimhinne og tannstatus, luftveier, gastrointestinal- og urogenitaltraktus. Den ene norske pasienten ble gravid under behandlingen, kfr tidligere meldinger til REK. Hun fortsatte med plasminogensubstitusjon under svangerskapet og gjennomførte et helt normalt svangerskap og fødsel. Tidligere utredning for infertilitet viste sammenvoksninger i uterus og tette tuber.

Resultatene er publisert i tidsskriftet Blood mars 2018 og ble presentert som oral presentasjon på møte i American Society of Hematology i desember 2017 og vil bli presentert på møte i American Society of Pediatric Hematology i mai 2018.

Kortfattet redegjørelse for gjennomføringen av prosjektet i forhold til opprinnelig søknad og plan for gjennomføring.

Studien ble gjennomført i samsvar med prosjektplan, med unntak av den ene pasienten som ble gravid, og der det ble laget en ad hoc tilleggsprotokoll som er godkjent av REK.

Lenke til eventuell publisasjon	Blood. 2018 Mar 22;131(12):1301-1310. doi: 10.1182/blood-2017-09-806729. - PMID: 29321155
---------------------------------	--

3. Vedlegg

#	Type	Filnavn	Lagt inn dato
1.	Sluttmelding / publisasjon	Shapiro_Blood_2018.pdf	23.04.18

4. Ansvarserklæring

Jeg erklærer at prosjektet vil bli gjennomført

I henhold til gjeldende lover, forskrifter og retningslinjer

I samsvar med opplysninger gitt i denne søknaden

I samsvar med eventuelle vilkår for godkjenning gitt av REK
