

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

2015/2417-14

Dokument-id: 743406 Dokument mottatt 22.06.2016

Utprøving med drisapersen ved Duchenne muskeldystrofi (2015/2417)

1. Generelle opplysninger

a. Prosjektleder

Navn:	Magnhild Rasmussen
Akademisk grad:	Dr.med.
Stilling:	Overlege
Arbeidssted:	Oslo Universitetssykehus HF
Arbeidsadresse:	Barneavdeling for nevrofag og Nevrologisk avdeling
Postnummer:	0424
Sted:	Oslo
Telefon:	23074502
E-post adresse:	marasmus@ous-hf.no

b. Prosjekt

Hvilket prosjekt gjelder sluttmeldingen/rapporten?	Utprøving med drisapersen ved Duchenne muskeldystrofi (2015/2417)
--	--

EudraCT-nummer 2015-001955-54

2. Sluttmelding/rapport og etisk vurdering

Sluttmelding

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

Legemiddelfirmaet BioMarin har stått for videre utprøving av exon skipping (exon 51) ved hjelp av drisapersen for gutter med Duchenne muskeldystrofi med aktuell mutasjon. Vi har tidligere hatt pasienter med i utprøving av samme substans i regi av GlaxoSmithKline (GSK), men GSK stoppet denne utprøvingen høsten 2013. Prosensa, og senere BioMarin fortsatte arbeidet med å prøve ut den aktuelle substansen, som fikk navnet drisapersen, og de som hadde vært med i GSK's utprøving, ble uforpliktende forespurt om de var interessert i å bli med på utprøvingen igjen, noe foreldrene til våre aktuelle kandidater var. Det forberedende arbeidet har deretter trukket i langdrag. Vi kontaktet BioMarin for å kunne gi utfyllende svar på de spørsmål REK hadde til vår søknad innsendt i desember 2015, men fikk ikke endelig svar på dette. Dermed kom aldri REK-godkjenning på plass, og pasientene fikk ikke gjenopptatt deltakelse i utprøving av drisapersen. I stedet har vi altså fått melding fra BioMarin om at de avslutter arbeidet med drisapersen. Dette skjer fordi de fikk negative signaler fra European Medicines Agency (EMA) når det gjaldt å få markedsføringstillatelse, se vedlegg mottatt fra BioMarin på forespørsel om utfyllende informasjon om årsak til at studien ble stoppet.

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

Prosjektet kom ikke i gang hos oss.

3. Vedlegg

#	Type	Filnavn	Lagt inn dato
1.	Sluttmelding / publikasjon	MAA DRISAPERSEN_31MAY2016.pdf	22.06.16

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
