

HET PROFYLAXE NETWERK VOOR DE ZIEKTE VAN VON WILLEBRAND

Het VWD Internationale Profylaxe (VIP) Onderzoek

Gepubliceerd: 18-08-2008 Laatste bijgewerkt: 07-05-2024

De doelstellingen van de studie zijn: a. Het identificeren van patienten met vWZ die baat kunnen hebben bij profylaxe door bloedingspatronen voor de inclusie in de prospectieve studie te evalueren. b. Het bestuderen van profylaxe op...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON31532

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

VIP-studie

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

Von Willebrand ziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Von Willebrand disease prophylaxis network

1 - HET PROFYLAXE NETWERK VOOR DE ZIEKTE VAN VON WILLEBRAND Het VWD Internationale ...

10-06-2025

Overige ondersteuning: CSL Behring Marburg, Germany (investigator initiated unrestricted grant),investigator-initiated unrestricted grant van CSL Behring Marburg;Germany

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bloedingen, factor VIII, profylaxe, von Willebrand ziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste uitkomstvariabele zijn bloedingen

Patienten krijgen dagboekjes waarin de bloedingen, datum, plaats van de bloedingen en oorzaak worden genoteerd. Ook worden de gebruikte stollingsfactoren genoteerd.

In de menorrhagie studie zal een nauwkeurige analyse worden verricht van het bloedverlies per cyclus volgens een vastgestelde score (PBAC).

Voor arthropathie wordt gekeken naar fysiotherapie onderzoek (WFH PE), pijn schaal en rontgenfoto's die worden geclassificeerd volgens de Petterson score

de kwaliteit van leven wordt gemeten middels de HRQOL -4 schaal

Secundaire uitkomstmaten

Andere uitkomstvariabelen zijn:

kosten van stollingsfactorproducten

dagen absentie van school of werk

laboratorium gegevens, waaronder remmende antistoffen tegen VWF

veiligheids aspecten:

serious adverse events

overige bijwerkingen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Resultaten van cohort studies bevestigen dat een deel van de patienten met de ziekte van von Willebrand) (VWZ) ernstige bloedings-gerelateerde morbiditeit hebben. De von Willebrand disease prophylaxis network (vWD PN) is een internationale studie groep die opgericht is met als doel profylaxe met stollingsfactor concentraat bij patienten met ernstige vWZ die niet reageren op andere behandeling te onderzoeken. De VWD international prophylaxis (VIP) study is een initiatief van de vWD PN.

Data die door de VWD PN verzameld zijn uit meerdere hemofiliebehandelcentra in Europa en Noord-Amerika gedurende de periode 2005-2006, tonen dat ongeveer 22% van de patienten met type 3 VWZ al op profylaxe staan. De meest voorkomende indicatie voor het gebruik van profylaxe zijn: gewrichtsbloedingen, neusbloedingen, menorrhagie en gastro-intestinale bloedingen. De belangrijkste vraagstelling van dit onderzoek betreft dan ook om een zo optimaal mogelijk behandelregime voor deze patienten vast te stellen, middels een periode van prospectieve evaluatie.

Doel van het onderzoek

De doelstellingen van de studie zijn:

- a. Het identificeren van patienten met vWZ die baat kunnen hebben bij profylaxe door bloedingspatronen voor de inclusie in de prospectieve studie te evalueren.
- b. Het bestuderen van profylaxe op bloedingsfrequentie
- c. het vaststellen van een optimaal doseringsschema voor gewrichtsbloedingen, gastro-intestinale bloedingen, neusbloedingen, menorrhagie.

- d. Vaststellen wat de kwaliteit van leven is voor start van de studie gerelateerd aan de bloedingsgeschiedenis voor inclusie in de studie en te onderzoeken of veranderingen in bloedingsspatroon en frequentie is geassocieerd met en verbetering van de kwaliteit van leven na de behandeling
- e. Het vaststellen van de frequentie van remmende antistoffen tegen VWF
- f. Het bestuderen van de frequentie en indicaties voor ziekenhuis opname
- g. evalueren van veiligheid van profylaxe door het bijhouden van studie-gerelateerde bijwerkingen

Onderzoeksopzet

De VIP studie is een observationele studie. Deelnemers worden niet gerandomiseerd. VWF/FVIII producten die worden gebruikt voor de studie zijn in Nederland geregistreerd voor VWZ. Het is aan de behandelend arts om een product te kiezen (Haemate P of Immunate SD). Deze producten zullen niet binnen de studie worden evrgoed, maar worden zoals gebruikelijk gedeclareerd bij de ziektekosten verzekeraar op basis van nacalculatie. De behandeling van acute bloedingen en het niet reageren op de ingestelde doseringsschema (dosis escalatie), zal door de behandelend arts worden bepaald.

Deelnemers in de prospectieve studie zullen een dosis escalatieschema krijgen van een tot drie toedieningen per week intraveneus. Alle patienten die aan de studie deelnemen zullen starten met de eerste level dosering en zullen hierop blijven gedurende de gehele follow-up (1 jaar), of indien zij aan de criteria voor escalatie voldoen (persisterende bloedingen), dan zullen zij naar een hoger dosis level worden gebracht.

duur follow-up 1 jaar

totale studiepopulatie 160-200 patienten (40-50 per indicatiegebied)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Deelnemers in de prospectieve studie zullen een dosis escalatieschema krijgen van een tot drie toedieningen per week intraveneus. Alle patienten die aan de studie deelnemen zullen starten met de eerste level dosering en zullen hierop blijven gedurende de gehele follow-up (1 jaar), of indien zij aan de criteria voor escalatie voldoen (persisterende bloedingen), dan zullen zij naar een hoger dosis level worden gebracht.

Inschatting van belasting en risico

De extra belasting voor de patienten in deze studie is minimaal, omdat de strategie van het toepassen van profylaxe bij patienten met VWZ in Nederland al op grote schaal wordt toegepast. De criteria hiervoor zijn echter niet goed vastgelegd, alsook de dosering en de frequentie van toediening van stollingsfactor concentreert. Dat is wat in deze prospectieve studie wordt

geevauerd. De risico zijn klein, de belangrijkste betreft de ontwikkeling van remmende antistoffen tegen VWF, wat alleen is beschreven bij patienten met type 3 VWZ. Hier is de kands enkele procenten, ahoewe een echte risicoinschatting niet te maken is.

Contactpersonen

Publiek

Von Willebrand disease prophylaxis network

p.a. Rho Inc. 6330 Quadrangle drive
NC 27517 Chapel Hill
US

Wetenschappelijk

Von Willebrand disease prophylaxis network

p.a. Rho Inc. 6330 Quadrangle drive
NC 27517 Chapel Hill
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Type 1: < of= 20% VWF RCo en/of < or= 20% FVIII en

Niet reagerend op DDAVP en een gespecificeerd aantal bloedingen die profylaxe noodzakelijk maken (zie blz 9, 10 en 11 protocol)

Type 2: niet reagerend op DDAVP of type 2B en een gespecificeerd aantal bloedingen die profylaxe noodzakelijk maken (zie blz 9, 10 en 11 protocol)

Type 3 en een gespecificeerd aantal bloedingen die profylaxe noodzakelijk maken (zie blz 9, 10 en 11 protocol)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Verworven von Willebrand ziekte

Indien er sprake is (geweest) van remmende antistoffen tegen VWF

Patienten die al op profylaxe staan

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Preventie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	01-10-2009
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Haemate P
Generieke naam:	Factor VIII/ von Willebrand factor concentraat
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Immunate SD
Generieke naam:	Factor VIII/ von Willebrand factor concentraat
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-08-2008
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-07-2009
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-11-2009
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
EudraCT	EUCTR2007-004943-31-NL
CCMO	NL18951.078.08