

Protocol voor patiënten met acute promyelocyten leukemie onder de 21 jaar

Gepubliceerd: 14-09-2010 Laatste bijgewerkt: 04-05-2024

Het doel van deze behandeling is maximale kans op genezing met minder kans op late effecten van de behandeling dan met vroegere behandelingen. Om dit doel te bereiken krijgen patiënten met een laag risico op een recidief (leukocytengetal in het...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Leukemieën
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON39899

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ICC APL Study 01

Aandoening

- Leukemieën

Synoniemen aandoening

Acute promyelocyten leukemie, bloedkanker

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Stichting Kinderoncologie Nederland

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: adolescenten, APL, behandeling, kinderen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomsten zijn:

- Het bereiken van moleculaire complete remissie (CRm) en redenen voor het niet bereiken van CRm
- Duur van de remissie, frequentie van relapses en overlijden in eerste complete remissie
- Overall survival
- Hematologische en niet-hematologische toxiciteit
- Supportive care requirements

Secundaire uitkomstmaten

Verminderen van lange termijn effecten zoals cardiotoxiciteit

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Dit protocol beschrijft richtlijnen voor de behandeling van acute promyelocyten leukemie (APL) bij kinderen en jong-volwassenen tot 21 jaar. Geadviseerd wordt behandeling met ATRA te starten bij elke patient met verdenking op APL, omdat vooral in de eerste fase APL een levensgevaarlijke ziekte is en snel tot behandeling moet worden overgegaan. Uiteindelijk is dit protocol echter alleen bedoeld voor patiënten die een type APL blijken te hebben dat op basis van moleculair onderzoek in principe gevoelig is voor ATRA, met name APL met een PML-RAR***NPM1-RAR α of NUP214-RAR α fusiegen.

APL is een zeldzame aandoening en daarom zal internationaal worden samengewerkt. Gegevens van ongeveer 300 patiënten, die geïnccludeerd zijn over een periode van ongeveer vijf jaar in meerdere landen in Europa (en daarbuiten) en behandeld zijn volgens dit protocol, worden daarbij geanalyseerd.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze behandeling is maximale kans op genezing met minder kans op late effecten van de behandeling dan met vroegere behandelingen. Om dit doel te bereiken krijgen patiënten met een laag risico op een recidief (leukocytengetal in het bloed $<10 \times 10^9/l$) een lagere cumulatieve hoeveelheid anthracyclines dan patiënten met een hoger risico (leukocytengetal in het bloed $\geq 10 \times 10^9/l$).

Onderzoeksopzet

De ICC APL Study 01 is een niet gerandomiseerde multicenter studie waarbij gestratificeerd behandeld wordt naar risicogroep volgens het Gimema -AIEOP/AIDA 93 protocol.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle patienten krijgen één inductie kuur. Hierna krijgen laag risico patiënten in principe nog twee zogenaamde consolidatiekuren, terwijl hoger risico patiënten na inductie nog drie consolidatiekuren krijgen, alvorens over te gaan op de derde fase, de onderhoudbehandeling. In elke fase van de behandeling wordt ATRA gebruikt, een geneesmiddel dat APL cellen doet uitrijpen en ze daarmee onschadelijk maakt. Behandeling met alleen ATRA is niet voldoende, en daarom wordt ook conventionele chemotherapie toegediend. De totale behandeling duurt ruim 2 jaar. APL is een ziekte waarbij het mogelijk is met verfijnde laboratoriumtechnieken (PCR) hele kleine aantallen leukemiecellen (zogenaamde MRD, minimal residual disease) op te sporen. In deze behandeling wordt gebruik gemaakt van MRD metingen en daarvoor wordt met enige regelmaat beenmerg en bloedonderzoek gedaan. Na de consolidatiekuren hoort een patient in het beenmerg geen MRD meer te hebben. Indien dat toch het geval is, wordt meer en eventueel andere chemotherapie gegeven. Dat is ook het geval als onverhoopt tijdens of na de onderhoudbehandeling MRD gemeten wordt met de PCR techniek. Het protocol geeft daarbij gedetailleerde behandeladviezen, afhankelijk van de precieze situatie bij de patient.

Inschatting van belasting en risico

Om te genezen dienen kinderen met APL behandeld te worden. Qua belasting en risico's wijkt dit protocol niet af van andere behandel-schema's zoals tot nu toe gebruikt voor kinderen en adolescenten met APL in Nederland. Dit protocol heeft stricte stopregels en veiligheidsrichtlijnen.

Contactpersonen

Publiek

Stichting Kinderoncologie Nederland

Leyweg 299
den Haag 2545 CJ
NL

Wetenschappelijk

Stichting Kinderoncologie Nederland

Leyweg 299
den Haag 2545 CJ
NL

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)

- Patienten met een klinische initiele diagnose APL, waarbij PML-RAR α , NPM1-RAR α or NUP214-RAR α fusion wordt aangetoond. Omdat dit een studie is voor ATRA gevoelige APL en APL een directe behandeling eist, dient de ATRA behandeling bij verdenking van de diagnose APL gestart te worden. Hierdoor dient de opname in de studie niet uitgesteld te worden totdat er moleculaire of cytologische bevestiging van APL is.
- Leeftijd jonger dan 21 jaar bij initiele diagnose
- Patient dient in staat te zijn anthracycline-therapie te kunnen ondergaan
- Getekend informed consent
- Vrouwen in de vruchtbare leeftijd dienen een negatieve zwangerschapstest hebben en dienen een eventuele zwangerschap te voorkomen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Patienten met een klinische APL diagnose maar waarbij na onderzoek een PLZF-RAR α fusie of ontbrekende PML-RAR α , NPM-RAR α of NuMA-RAR α rearrangement gaan uit de studie en dienen behandeld te worden op een alternatief protocol.
- Refractaire/gerecidiveerde APL
- Een gelijktijdige maligniteit
- Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven
- Dokter en ouder/kind die aangeven dat intensieve chemotherapie bij patient geen optie is
- Patienten die een andere vorm van chemotherapie hebben gekregen voor 7 dagen of langer zonder dat hier ATRA bij gegeven is.

Onderzoekopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	11-03-2011
Aantal proefpersonen:	5
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Cytarabine CF (Ara-C)
Generieke naam:	Cytarabine
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel

Merknaam:	Methotrexaat Sandoz
Generieke naam:	Methotrexate
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Mitoxantron PCH
Generieke naam:	Mitoxantrone hydrochloride
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Vesanoid
Generieke naam:	tretinoïne (ATRA)
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Zavedos
Generieke naam:	idarubicine
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-09-2010
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-10-2010
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-10-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-12-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	

Datum: 06-03-2015
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

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	EUCTR2008-002311-40-NL
CCMO	NL31836.029.10