

Nationale observationele studie voor het monitoren van de nieuwe richtlijn omtrent behandeling van atypisch hemolytisch uremisch syndroom

Gepubliceerd: 15-06-2016 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Monitoren en evalueren van de Nederlandse richtlijn voor de behandeling van aHUS gedurende twee jaar.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Immuunstelselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON44007

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CUREiHUS

Aandoening

- Immuunstelselaandoeningen, congenitaal
- Nefropathieën

Synoniemen aandoening

acuut nierfalen, complement gemedieerde hemolytisch uremisch syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: ZonMw, Betaalbaar Beter Radboudumc; Alliantie met VGZ

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: atypisch hemolytisch uremisch syndroom, complement systeem, Eculizumab, Personalized therapy

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Gedurende vier jaar zal de nieuwe richtlijn worden gemonitord en uiteindelijk na deze periode ook worden geëvalueerd. Met de implementatie van de nieuwe richtlijn hopen we te demonstreren dat de behandeling met eculizumab veilig aangepast en zelf geheel gestopt kunnen worden om zo de behandeling van aHUS te optimaliseren. Met de implementatie van de nieuwe richtlijn zullen aHUS patiënten met eculizumab behandeld worden gedurende drie maanden waarna de eculizumab afgebouwd of zelfs geheel gestopt worden. Klinische en laboratorium gegevens zullen geëvalueerd worden door de nationale werkgroep aHUS-eculizumab. Alle data zullen verzameld worden in een online webbased database, Castor.

Secundaire uitkomstmaten

Er zijn twee add-on studies toegevoegd aan dit onderzoeksprotocol met als uitkomstmaten:

1. Meer inzicht verkrijgen in de farmakokinetiek en dynamiek van eculizumab
2. Testen van de psychometrische proporties met een vragenlijst: patiënt gerapporteerde ervaring meten (PREM) om zo beter patiënt ervaringen met (dure) medicatie te meten.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het hemolytisch uremisch syndroom (HUS) is een ernstige en zeldzame vorm van een trombotische microangiopathie. Dit veroorzaakt een trias van symptomen welke karakteriserend zijn voor een HUS; hemolytische anemie, trombocytopenie en acute nierinsufficiëntie. In 5-10% van de gevallen is complement gemedieerde HUS, ook wel atypische HUS (aHUS) genoemd, de oorzaak van de HUS (geschatte incidentie van 1-9/1.000.000 gevallen per jaar in Nederland). Atypische HUS kan op alle leeftijden voorkomen en heeft ernstige gevolgen, met mortaliteit in de acute fase tot 10% en meer dan 50% van de aHUS patiënten die uiteindelijk eindstadium nierfalen ontwikkelen. Sinds 2012 is er een nieuw medicijn beschikbaar voor de behandeling van aHUS, een ultra weesgeneesmiddel genaamd eculizumab. Alhoewel deze nieuwe behandeling met eculizumab zeer veelbelovend is, bestaan er twijfels over de korte en lange termijn effecten van deze tweewekelijkse, intraveneuze, behandeling. Daarnaast zijn de kosten van eculizumab gigantisch, met kosten oplopend tot $\approx$ 500.000 per jaar per volwassen aHUS patiënt. In het najaar van 2015 is er een nieuwe richtlijn geïmplementeerd in Nederland voor de behandeling van aHUS. Met deze richtlijn zal de behandeling van aHUS patiënten meer geïndividualiseerd kunnen worden en zal de behandeling met eculizumab worden aangepast dan wel geheel gestopt.

Doel van het onderzoek

Monitoren en evalueren van de Nederlandse richtlijn voor de behandeling van aHUS gedurende twee jaar.

Onderzoeksopzet

Multicenter, prospectieve, observationele studie

Inschatting van belasting en risico

Het is een observationele studie voor het monitoren en evalueren van de nieuwe richtlijn voor de behandeling van aHUS. Meedoen aan deze studie bevat weinig tot geen extra risico's. Voor alle extra invasieve procedures zoals venapunctie wordt apart toestemming gevraagd. Met deze studie wordt de mogelijkheid van meer gepersonaliseerde behandeling onderzocht wat vergaande gevolgen kan hebben voor de behandeling van aHUS in de toekomst.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert grooteplein 10
Nijmegen 6525 GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert grooteplein 10
Nijmegen 6525 GA
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)

1. Patienten van alle leeftijden met de verdenking op dan wel diagnose aHUS
2. Behandeld volgens de nieuwe Nederlandse richtlijn voor aHUS
3. De patient en/of de ouders willen en zijn in staat om het informed consent formulier te tekenen voor de start van het onderzoek.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De patient en/of de ouders willen niet of zijn niet in staat tot het tekenen van het informed consent formulier voor het starten van de studie.
2. Patienten met een andere etiologische vorm van HUS dan aHUS

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 10-08-2016

Aantal proefpersonen: 50

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 15-06-2016

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-07-2016

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-09-2016

Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

ID: 22544
Bron: NTR
Titel:

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL52817.091.15
OMON	NL-OMON22544