

De COMplement Prospectieve Evaluatie van Thrombotische microangiopathie op het Endotheel (COMPETE) Studie

Gepubliceerd: 11-08-2021 Laatste bijgewerkt: 08-04-2024

Het doel van dit onderzoek is om de prevalentie van C-TMA in patiënten met een TMA al of niet gerelateerd aan een andere conditie in kaart te brengen, zodat vroegtijdig herkenning wordt mogelijk gemaakt. Daarnaast wordt gekeken naar de diagnostische...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Hemolyses en aanverwante aandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON54987

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

COMPETE

Aandoening

- Hemolyses en aanverwante aandoeningen
- Nefropathieën
- Embolieën en trombose

Synoniemen aandoening

atypisch hemolytisch uremisch syndroom, Thrombotische microangiopathie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Medisch Universitair Ziekenhuis Maastricht

Overige ondersteuning: Alexion Pharmaceuticals, Alexion Pharmaceuticals Inc.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Complement, Hemolytisch uremisch syndroom (HUS), Nierbiopsie, Thrombotische microangiopathie (TMA)

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De prevalentie van C-TMA in een groep patiënten met TMA.

Secundaire uitkomstmaten

De secundaire uitkomstmaten zijn gebaseerd op het klinisch beloop zoals hematologische en renale klinische respons, refractaire ziekte, herstel van nierfunctie, chronische nierinsufficiëntie, eindstadium nierfalen en overlijden.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Thrombotische microangiopathie (TMA) kan ontstaan in het kader van complement dysregulatie, ook wel complement gemedieerde TMA (C-TMA) genaamd. De nomenclatuur, zoals in 2016 beschreven door HUS International, stelt dat complement dysregulatie als oorzaak van de TMA gediagnosticeerd mag worden per exclusionum. Ergo, andere condities/verklaring voor de TMA mogen niet aanwezig zijn om de diagnose C-TMA te stellen. Eerdere studies, onder andere werk van onze groep, toont dat complement dysregulatie wel degelijk aanwezig kan zijn in het geval patiënten zich presenteren met onder andere hypertensieve crisis. Het tijdig herkennen van deze patiënten is zeer belangrijk voor de behandeling als ook de prognose.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om de prevalentie van C-TMA in patiënten met een TMA al of niet gerelateerd aan een andere conditie in kaart te brengen, zodat vroegtijdig herkenning wordt mogelijk gemaakt. Daarnaast wordt gekeken naar de diagnostische waarde van een eigen ontwikkelde test, wordt de dynamiek van complement testen in kaart gebracht gedurende de follow-up, en worden klinische, pathologische en genetische bevindingen gecorreleerd aan het

klinisch beloop.

Onderzoeksopzet

Het onderzoeksopzet is dat van een prospectief observationeel cohort.

Inschatting van belasting en risico

Daar patiënten behandeld en vervolgd worden conform de standaard routine zal zowel de belasting als het risico minimaal zijn.

Contactpersonen

Publiek

Medisch Universitair Ziekenhuis Maastricht

P. Debyelaan 25
Maastricht 6229HX
NL

Wetenschappelijk

Medisch Universitair Ziekenhuis Maastricht

P. Debyelaan 25
Maastricht 6229HX
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Man of vrouw ten minste 18 jaar;
- Acute nierinsufficiëntie met een geschatte GFR <45 mL/min/1.73m²;
- Thrombotische microangiopathie (TMA) bewezen in perifeer bloed (i.e., Coombs negatieve microangiopathische haemolyse [Ht $<30\%$, hemoglobine <6.5 mmol/L, lactaat dehydrogenase >500 U/L, fragmentocyten en/of een verlaagd haptoglobine, trombocyten <150000 per μ L] en/of nierbiopt.
- Primair atypische hemolytisch uremisch syndroom of TMA op basis van een conditie gerelateerd aan complement dysregulatie:
 - Hypertensieve crise (i.e., bloeddruk $>180/120$ mmHg en dreigende orgaanschade in het kader van hypertensie (ten minste één van de volgende: neurologische ziekte, hypertensieve retinopathie graad III en/of IV, linker ventrikel hypertrofie); OF
 - Zwangerschap; OF
 - Niertransplantatie; OF
 - Systemische auto-immuun aandoening (e.g., systeem sclerose, systemische lupus erythematosus, anti-fosfolipidensyndroom).
- Is wilsbekwaam en bereid informed consent te verlenen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Secundaire hypertensie.
- Nefropathie niet gerelateerd aan thrombotische microangiopathie (TMA).
- ADAMTS13 deficiëntie, i.e., enzym activiteit $<10\%$.
- Shiga toxine producerende bacterie als oorzaak van de TMA.
- Positieve en actieve virale infectie als HIV en/of CMV.
- Maligniteit behoudens huidkanker anders dan melanoom.
- Hematologische stamceltransplantatie of orgaantransplantatie anders dan niertransplantatie.
- Gebruikt medicatie als chemotherapie, sirolimus, anti-VEGF behandeling.
- Drug gebruik.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep
Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland
Status: Werving gestart
(Verwachte) startdatum: 18-08-2021
Aantal proefpersonen: 42
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 11-08-2021
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

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
ClinicalTrials.gov	NCT04745195
CCMO	NL74928.068.20