

Von Willebrand ziekte in Nederland - Prospectieve studie (WiN-Pro)

Gepubliceerd: 18-09-2018 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Het doel van dit onderzoek is om het actuele bloedingsfenotype van patiënten met de ziekte van Von Willebrand in kaart te brengen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON55831

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

WiN-Pro

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
- Bloed- en lymfestelselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

Von Willebrand ziekte, VWZ

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: CSL Behring, Shire, Stichting Haemophilia (Dutch Haemophilia Foundation)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Bloedingsziekte, Landelijk onderzoek, von Willebrand factor, von Willebrand ziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Major bloedingen; bloedingen die bloedtransfusie, desmopressine of factoren concentraat vereisen of bloedingen die leiden tot de dood.

Secundaire uitkomstmaten

De secundaire uitkomsten zijn onder andere *minor bloedingen* (alle bloedingen die niet onder de definitie van *major bloedingen* vallen), bloedingen tijdens operaties, Von Willebrand factor waarden en de ISTH-BAT score.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Von Willebrand is de meest voorkomende erfelijke bloedingsziekte. Het wordt veroorzaakt door een tekort aan Von Willebrand factor (type 1), een abnormaal functionerend Von Willebrand factor (type 2) of afwezigheid van Von Willebrand factor (type 3). Klinisch wordt de ziekte met name gekarakteriseerd door mucocutane bloedingen.

Als er bij een patiënt een verdenking is op de ziekte van Von Willebrand, dan wordt de bloedingsscore (bloedingen gedurende het leven) en de familieanamnese van bloedingsziekten uitgevraagd, gevolgd door een gedetailleerde laboratorium evaluatie. Om de bloedingsscore uit te vragen wordt er gebruik gemaakt van de *International Society for Thrombosis and Hemostasis Bleeding Assessment Tool (ISTH-BAT)*. In het laboratorium worden de Von Willebrand factor antigeen (VWF:Ag), Von Willebrand collageenbinding (VWF:CB), Von Willebrand activiteit (VWF:Act) en factor FVIII activiteit (FVIII:C) bepaald om de ziekte van Von Willebrand vast te kunnen stellen. Afhankelijk van de uitkomsten kunnen er aanvullende laboratoriumbepalingen gedaan worden om te differentiëren tussen de verschillende types van Von Willebrand ziekte.

De afgelopen jaren zijn er wereldwijd grote retrospectieve cohort studies uitgevoerd die tot belangrijke inzichten hebben geleid met betrekking tot de klinische presentatie, bloedingsfenotype, diagnostiek, behandeling,

genetica en de kwaliteit van leven van patiënten met de ziekte van Von Willebrand. In al deze studies is het bloedingsfenotype van patiënten onderzocht met behulp van retrospectieve bloedingscores. Het nadeel van deze bloedingscores is dat zij een som geven van alle bloedingen gedurende het leven. Daardoor heeft een patiënt die tientallen jaren geleden een periode heeft gehad met veel bloedingen een hoge bloedingscore, terwijl het mogelijk is dat de patiënt in de jaren daarna nooit meer een bloeding heeft gehad. Daarom zeggen bloedingscores weinig over de huidige bloedingsfenotype van patiënten en zijn er prospectieve studies nodig om het actuele bloedingsfenotype van patiënten met de ziekte van Von Willebrand in kaart te brengen.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om het actuele bloedingsfenotype van patiënten met de ziekte van Von Willebrand in kaart te brengen.

Onderzoeksopzet

Er zal een landelijk, multi-center, observationele, prospectieve cohort studie worden uitgevoerd in alle patiënten met de ziekte van Von Willebrand in Nederland.

De studie kent 2 belangrijke onderdelen; patiënten zullen tijdens de inclusie eenmalig hun eigen hemofiliebehandelcentrum bezoeken. Vervolgens zullen patiënten 2 jaar lang prospectief vervolgd worden door middel van online vragenlijsten om de 3 maanden. Aan het eind van het onderzoek zal een vragenlijst naar kwaliteit van leven worden afgenomen.

Inschatting van belasting en risico

Het onderzoek heeft een observationele opzet met als patiënt gerelateerde extra handelingen het invullen van vragenlijsten, eenmalige bloedafname, een bloeddrukmeting en nagelriemonderzoek. De risico's van het onderzoek zijn verwaarloosbaar klein. De totale belasting voor patiënten zal maximaal 4 uur zijn gedurende een periode van 2 jaar (vraag E2).

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
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)

- Historisch laagste VWF:Ag en/of VWF:Act en/of VWF:CB ≤ 0.30 IU/mL en/of FVIII:C ≤ 0.40 IU/mL.
- Onder behandeling in een Hemofiliebehandelcentrum in Nederland
- Alle typen VWD
- Alle leeftijden

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Aanwezigheid van andere bloedingsziektes

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 23-07-2019

Aantal proefpersonen: 1300

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 18-09-2018

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 09-12-2021

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
Ander register	Identificatienummer volgt
CCMO	NL62238.078.18