

Een onderzoek naar het natuurlijke beloop van de exocriene pancreasfunctie bij zuigelingen jonger dan 12 maanden met cystische fibrose

Gepubliceerd: 02-12-2024 Laatste bijgewerkt: 18-01-2025

Om de natuurlijke geschiedenis van de exocriene pancreasfunctie te karakteriseren zoals gemeten door FE-1 bij zuigelingen met CF

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Respiratoire aandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON57135

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Natuurlijke beloop exocriene pancreasfunctie bij zuigelingen met CF

Aandoening

- Respiratoire aandoeningen, congenitaal
- Exocriene pancreasaandoeningen
- Luchtwegaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

Exocriene pancreasinsufficiëntie (EPI)

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Vertex Pharmaceuticals

Overige ondersteuning: Vertex Pharmaceuticals Incorporated

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cystische Fibrose, Een onderzoek naar het natuurlijke beloop, Exocriene Pancreasfunctie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Percentage deelnemers met FE-1 = 200 µg/g in de loop van de tijd

Secundaire uitkomstmaten

FE-1-niveau in de loop van de tijd

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Deze studie wordt gedaan om meer te weten te komen over de alvleesklier (een orgaan dat helpt bij het verteren van voedsel) en de darmen bij zuigelingen met CF die niet worden behandeld met een Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR) modulator. Zorgverleners zullen wekelijks ontlastingsmonsters verzamelen voor het testen van een pancreasenzym genaamd fecaal elastase en een marker van ontsteking van de darmen genaamd calprotectine.

Doel van het onderzoek

Om de natuurlijke geschiedenis van de exocriene pancreasfunctie te karakteriseren zoals gemeten door FE-1 bij zuigelingen met CF <12 maanden oud

Onderzoekopzet

Dit is een hybride gedecentraliseerde studie om de natuurlijke geschiedenis van exocriene pancreasfunctie te karakteriseren door FE-1 te meten bij zuigelingen met CF. Fecaal calprotectine (een biomarker van gastro-intestinale ontsteking) zal ook worden beoordeeld. De dag van inschrijving voor dit onderzoek wordt de "indexdatum" genoemd.

Gegevens worden achteraf verzameld uit medische dossiers tijdens de pre-inschrijving Periode, die wordt gedefinieerd vanaf de geboortedatum tot de indexdatum. Gegevens worden verzameld prospectief gedurende de Meetperiode, die wordt gedefinieerd vanaf de indexdatum tot ongeveer wanneer de deelnemer 12 maanden oud wordt.

FE-1 en fecaal calprotectinespiegels zullen worden beoordeeld in fecale monsters die zijn verzameld tijdens de Meetperiode.

Inschatting van belasting en risico

Ontlastingsmonster: er zijn geen bekende risico's of ongemakken van de afname van het ontlastingsmonster

Vertrouwelijkheid: Het is mogelijk dat uw naam of andere persoonlijke informatie kan worden gezien door een onbevoegd persoon.

Contactpersonen

Publiek

Vertex Pharmaceuticals

Van Swietenlaan 6
Groningen 9728 NZ
NL

Wetenschappelijk

Vertex Pharmaceuticals

Van Swietenlaan 6
Groningen 9728 NZ
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Baby's en peuters (28 dagen - 23 maanden)

Pasgeborenen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Wettelijk aangestelde en gemachtigde vertegenwoordiger van de deelnemer (bijv. ouder of wettelijke voogd) zal een formulier voor geïnformeerde toestemming (ICF) ondertekenen en dateren.
2. Mannelijke of vrouwelijke deelnemers met CF <6 maanden oud op de indexdatum.
3. De deelnemer komt niet in aanmerking voor commerciële Kalydeco* (op basis van lokale productlabels) en ontvangt geen Kalydeco of een andere CFTR-modulator.
4. Naar het oordeel van de onderzoeker moet de ouder of wettelijke voogd het kunnen begrijpen protocolvereisten, beperkingen en instructies, en de ouder of wettelijke voogd moet ervoor te zorgen dat de deelnemer het onderzoek zal naleven en waarschijnlijk zal voltooien als gepland.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Geschiedenis van een ziekte of een klinische aandoening die, naar de mening van de onderzoeker, ofwel de resultaten van het onderzoek verwarren of het vermogen van de deelnemer om deel te nemen beïnvloeden.
2. Lopende of eerdere deelname aan een geneesmiddelenonderzoek.
Opmerking: Doorlopende deelname aan een niet-interventioneel onderzoek (inclusief observationeel studies) is toegestaan.
3. Deelnemer wiens moeder een CFTR-modulator heeft gebruikt terwijl ze zwanger was van de deelnemer, of die in het verleden is blootgesteld aan een CFTR-modulator (bijv. door consumptie van borst melk van een moeder op een CFTR-modulator of een ander middel).
4. Een naast familielid van de deelnemer is de onderzoeker of een subonderzoeker, onderzoeksassistent, studiecoördinator of ander personeel dat direct betrokken is bij de uitvoering

van het onderzoek

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Zal niet starten

Aantal proefpersonen: 4

Type: Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-12-2024

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: BEBO: Stichting Beoordeling Ethiek Bio-Medisch Onderzoek (Assen)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

5 - Een onderzoek naar het natuurlijke beloop van de exocriene pancreasfunctie bij z ... 18-06-2025

In overige registers

Register

CCMO

Ander register

ID

NL86940.056.24

To be determined

Resultaten

Samenvatting resultaten

Trial never started