

National observational study to monitor the new guideline concerning treatment of atypical hemolytic uremic syndrome

Gepubliceerd: 08-07-2016 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

-

Ethische beoordeling	Positief advies
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON22544

Bron

Nationaal Trial Register

Verkorte titel

CUREiHUS

Aandoening

atypische hemolytisch uremisch syndroom, atypical hemolytic uremic syndrome, complement system, eculizumab, restrictive treatment regimen, orphan drugs, weesgeneesmiddel

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud university medical center

Overige ondersteuning: ZonMw, Zorgverzekeraars Nederland, Goed Gebruik Geneesmiddelen (project number 836031008)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Monitoring and evaluation of the Dutch guideline for treatment of aHUS in children and adults during two years.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Atypical hemolytic uremic syndrome (aHUS) is a rare, but severe form of thrombotic microangiopathy, and is considered the consequence of complement dysregulation. Atypical HUS has

a poor outcome with mortality up to 10% and over 50% of patients developing end stage renal

disease. Since the end of 2012, these outcomes have greatly improved with the introduction of

eculizumab.

The European Medicines Agency has approved eculizumab for the treatment of aHUS

patients. The guideline advocates lifelong treatment. However, there is no hard evidence to support

this advice. Historically, a substantial number of aHUS patients were weaned of plasma therapy,

often without disease recurrence. Moreover, the long-term consequences of eculizumab treatment

are unknown.

Recently, a new guideline concerning therapy in aHUS patients and hereby addressing

therapy adjustment and/or discontinuation in aHUS patients is implemented in the Netherlands. In

this national, multicenter, observational study we will include all aHUS, both pediatric and adults,

patients who are treated conform this new guideline. During four years this guideline will be monitored and evaluated.

Doel van het onderzoek

-

Onderzoeksopzet

Observational study for two years

Onderzoeksproduct en/of interventie

None

Contactpersonen

Publiek

Department of Pediatric Nephrology

Kioa Wijnsma
Radboudumc, huispostnummer 804 Postbus 9101

Nijmegen 6500 HB
The Netherlands

-

Wetenschappelijk

Department of Pediatric Nephrology

Kioa Wijnsma
Radboudumc, huispostnummer 804 Postbus 9101

Nijmegen 6500 HB
The Netherlands

-

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Patients of all ages, suspected of or diagnosed with aHUS

2. Treated conform the new Dutch guideline for aHUS.
3. Subject and/or his parents is able and willing to sign the Informed Consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- 1, Subject and/or his parents is not able or willing to sign the Informed Consent before start of the study.
2. Patients with other etiological forms of HUS than aHUS

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel: Anders
Toewijzing: N.v.t. / één studie arm
Controle: N.v.t. / onbekend

Deelname

Nederland
Status: Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum: 01-08-2016
Aantal proefpersonen: 50
Type: Verwachte startdatum

Voornemen beschikbaar stellen Individuele Patiënten Data (IPD)

Wordt de data na het onderzoek gedeeld: Nog niet bepaald

Ethische beoordeling

Positief advies
Datum: 08-07-2016
Soort: Eerste indiening

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

ID: 44007

Bron: ToetsingOnline

Titel:

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL5833
NTR-old	NTR5988
CCMO	NL52817.091.15
OMON	NL-OMON44007

Resultaten