

Farmacokinetiek en farmacodynamiek van prednisolon in pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen

Gepubliceerd: 13-08-2021 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Het vaststellen van de PK / PD-relatie van prednisolon met betrekking tot toxiciteit als klinische uitkomst bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON24592

Bron

Nationaal Trial Register

Verkorte titel

CARPE DIEM

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: University Medical Center Utrecht

Overige ondersteuning: Not applicable

Onderzoeksproduct en/of interventie

Toelichting

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

The association between exposure (PK) and prednisolone toxicity (PD) in paediatric patients with autoimmune or autoinflammatory diseases.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De prevalentie en incidentie van auto-immuun- en inflammatoire ziekten zijn de afgelopen jaren behoorlijk toegenomen. Een van de grootste zorgen bij pediatrische patiënten blijft de hoge prevalentie van toxiciteit als gevolg van de langdurige behandeling met systemische corticosteroïden. De standaardbehandeling van auto-immuun- en inflammatoire ziekten bij pediatrische patiënten zijn hoge doses systemische corticosteroïden. Hoewel systemische corticosteroïden zeer effectief zijn bij de behandeling van auto-immuun- en inflammatoire ziekten, is het optreden en de ernst van bijwerkingen alsnog aanzienlijk. Toxiciteit is vaak ernstig, maar zeer variabel tussen patiënten en uit zich in psychiatrische en metabole bijwerkingen zoals depressie, persoonlijkheids- en gedragsveranderingen, slaapstoornissen, overmatige gewichtstoename, hypertensie, diabetes mellitus, groeiachterstand en cushingoïde symptomen. Het verband tussen farmacokinetiek (PK) van prednisolon en (mate van) toxiciteit is echter nog niet onderzocht bij kinderen. Het Universitair Medisch Centrum (UMC) Utrecht beschikt over de unieke Liquid Chromatography-Mass Spectrometry (LC-MS) techniek waarmee de PK zeer nauwkeurig gemeten kan worden. Onze hypothese is dat nauwkeurige dosering van corticosteroïden, met optimale blootstelling bij elke individuele patiënt, de bijwerkingen bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten en auto-inflammatoire aandoeningen zal verminderen. Daarom willen we de PK onderzoeken in relatie tot de toxiciteit (farmacodynamiek (PD)) van corticosteroïden bij kinderen met auto-immuunziekten en auto-inflammatoire aandoeningen.

Doel van het onderzoek

Het vaststellen van de PK / PD-relatie van prednisolon met betrekking tot toxiciteit als klinische uitkomst bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen.

Onderzoeksopzet

Prospectieve, observationele studie

Primair: Het vaststellen van de associatie tussen de blootstelling (PK) en de prednisolon toxiciteit (PD) bij pediatrische patiënten met auto-immuun of inflammatoire ziekten.

Secundair: Het vaststellen van informatie over het voorkomen en de mate van toxiciteit bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen en het identificeren van determinanten en de bijbehorende variabiliteit voor de ontwikkeling van een populatie-PK-model

Onderzoeksproduct en/of interventie

Er is geen sprake van een interventie. Het betreft een observationele studie van de standaardbehandeling.

Inschatting van belasting en risico

De gegevens die in deze studie zullen worden verkregen, zullen worden gebruikt om de populatie PK en de PD van prednisolon vast te stellen bij kinderen met auto-immuun- of inflammatoire ziekten. De belasting zal minimaal zijn aangezien er voor de PK 4 bloedmonsters (aanvullend op de standaardzorg) van 2 ml worden afgenomen (beperkte bloedafname strategie). Het bloedvolume dat voor het onderzoek wordt afgenomen, overschrijdt het aanbevolen maximum niet. De toegepaste bloedafname strategie is minimaal invasief, aangezien alle geïnccludeerde patiënten aanwezig zijn tijdens een routinematig polikliniekbezoek en een perifere canule zullen krijgen voor routinematige bloedafname en PK-bloedafnames, waardoor er geen extra bloedpuncties zijn. Patiënten zullen worden gevraagd om maximaal 4-5 uur te blijven voor de PK-bloedafnames en om een vragenlijst in te vullen over de mentale bijwerkingen.

Contactpersonen

Publiek

UMC Utrecht
Julia Möhlmann

0625777063

Wetenschappelijk

UMC Utrecht
Julia Möhlmann

0625777063

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Patients treated by the WKZ with an autoimmune disease or autoinflammatory disease including IBD; 2. Patients both newly diagnosed and with refractory or relapsed disease with an indication for systemic corticosteroids; 3. Planned to receive systemic corticosteroids until at least one scheduled follow-up visit between the 2nd and 6th week; 4. Informed consent form (ICF) signed prior to participation in the study.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

None in advance.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	N.V.T.
Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	N.v.t. / één studie arm
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	N.v.t. / onbekend
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	24-03-2022
Aantal proefpersonen:	50
Type:	Werkelijke startdatum

Voornemen beschikbaar stellen Individuele Patiënten Data (IPD)

Wordt de data na het onderzoek gedeeld: Ja

Toelichting

The pharmacokinetic population parameters, PK/PD model and any optimized dosing recommendations will be shared with the relevant profession through articles, poster presentations, etc.

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-12-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC NedMec

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

ID: 51250

Bron: ToetsingOnline

Titel:

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL9668
CCMO	NL76235.041.21
OMON	NL-OMON51250

Resultaten

Samenvatting resultaten

Not applicable