

Eculizumab in patients with classic PNH: A cost effectivity study.

Gepubliceerd: 22-12-2011 Laatste bijgewerkt: 18-08-2022

Evaluation of eculizumab treatment in PNH patients at home compared to treatment at the center of excellence in the Netherlands.

Ethische beoordeling	Niet van toepassing
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON29026

Bron

Nationaal Trial Register

Aandoening

Patient satisfaction, cost effectiveness, Quality of life, home-based treatment

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud University Nijmegen Medical Centre (RUNMC)

Overige ondersteuning: ZonMw

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Satisfaction of patients (home care versus intramural administration) determined by a treatment satisfaction questionnaire.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) is a rare acquired benign stem cell disorder characterized by hemolysis, anaemia, abdominal pain and thrombophilia. The symptoms interfere strongly with patient's social and working life. The newly registered orphan drug eculizumab has changed the lives of PNH patients significantly. Patients have less fatigue and a remarkably improved quality-of-life. Administration of eculizumab is per i.v. infusion once every week. In the Netherlands PNH patients travel to Nijmegen for each eculizumab infusion. In this study patients already on eculizumab treatment and new patients after at least 3 months of treatment at the out-patient clinics of the Radboud University Nijmegen Medical Center will be offered eculizumab treatment by specialized nurses at home. Cost effectiveness, expressed as cost and patient satisfaction will be compared per patient over 6 months of treatment in the expert center and 6 months at home.

Doel van het onderzoek

Evaluation of eculizumab treatment in PNH patients at home compared to treatment at the center of excellence in the Netherlands.

Onderzoeksopzet

1. 6 months treatment in the expert center;
2. 6 months treatment at home;
3. Patients fill in questionnaire every 1,5 months.

Onderzoeksproduct en/of interventie

A questionnaire is filled in by patients. No intervention will be given because the patients are already using eculizumab.

Contactpersonen

Publiek

RUNMC, dep of Hematology
M. Reen, van
Nijmegen 9101 HB
The Netherlands

+31 (0)31 243614794

Wetenschappelijk

RUNMC, dep of Hematology
M. Reen, van
Nijmegen 9101 HB
The Netherlands
+31 (0)31 243614794

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. PNH patients treated with eculizumab;
2. Aged ≥ 18 years;
3. Informed consent.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

No informed consent.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	N.v.t. / één studie arm
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	N.v.t. / onbekend

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-11-2011
Aantal proefpersonen:	25
Type:	Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Niet van toepassing	
Soort:	Niet van toepassing

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
NTR-new	NL3067
NTR-old	NTR3215
Ander register	ZonMw : 80-82500-98-9008
ISRCTN	ISRCTN wordt niet meer aangevraagd.

Resultaten

Samenvatting resultaten

N/A