

Sickle Cell Outcome Research

Gepubliceerd: 02-07-2019 Laatste bijgewerkt: 18-08-2022

More optimal prediction of SCD disease severity will lead to more precise management and treatment and development of novel therapeutic options.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON29491

Bron

Nationaal Trial Register

Verkorte titel

SCORE

Aandoening

Sickle cell disease

Ondersteuning

Primaire sponsor: NA

Overige ondersteuning: Erasmus MC

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

1. To describe the natural course of disease e.g. symptoms and complications, growth, psychosocial and neurocognitive development, socioeconomic and demographic characteristics of children and adults with SCD;
2. To identify (molecular) genetic and epigenetic, biological, demographic and psychological and therapeutic determinants for morbidity, mortality and treatment outcome in children and

adults with SCD;

3. To investigate the long-term effects of current and future therapies on symptoms and complications, preservation of organ function, growth, psychosocial and neurocognitive development in children and adults with SCD;

4. To evaluate and improve aspects of health care organization and other (perceived) care aspects in children and adults with SCD by measurement of patient and treatment characteristics, patient-reported outcomes, patient reported experiences and to perform analyses of associations between these factors and health care outcome.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

This long term retrospective and prospective observational cohort study in sickle cell disease (SCD) patients in the Netherlands aims to determine the natural history of SCD and to identify modifying factors which contribute to morbidity and mortality of the disease.

Doel van het onderzoek

More optimal prediction of SCD disease severity will lead to more precise management and treatment and development of novel therapeutic options.

Onderzoeksopzet

Data will be collected retrospectively and prospectively at participants' half yearly regular clinic visits as part of standard care.

Onderzoeksproduct en/of interventie

NA

Contactpersonen

Publiek

Erasmus Medical Center
Ineke van Vliet

0031107036140

Wetenschappelijk

Erasmus Medical Center
Ineke van Vliet

0031107036140

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- A diagnosis of SCD of any genotype;
- Written informed consent by the patient or legal guardians, and pediatric consent when indicated.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Any medical or social reason, which obstructs or inhibits study participation according to treating physician;
- Patient or legal guardians unable or unwilling to give consent, or lack of pediatric consent when indicated.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland

Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	01-09-2019
Aantal proefpersonen:	1000
Type:	Verwachte startdatum

Voornemen beschikbaar stellen Individuele Patiënten Data (IPD)

Wordt de data na het onderzoek gedeeld: Ja

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	NL7873
Ander register	METC Erasmus MC : MEC-2019-0436

Resultaten