

Nieuwe diagnostische strategieën in kinderen met sikkelcelziekte: het detecteren van pulmonale hypertensie; een pilot studie

Gepubliceerd: 25-11-2008 Laatste bijgewerkt: 06-05-2024

1. Vaststellen van de prevalentie van PH in onze patientengroep door gestandaardiseerd echocardiografie; 2. Analyse van de voorspellende waarde van alveolair and bronchiale FeNO-metingen voor PH in SCD patienten; 3. Evaluatie van (genetische) risico...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Hemoglobinopathiën
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON31852

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Pulmonale hypertensie en sikkelcelziekte

Aandoening

- Hemoglobinopathiën

Synoniemen aandoening

HbSbetathal), HbSC, hemoglobinopathie (HbSS, sikkelcelziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Longfunctieonderzoek, Pulmonale hypertensie, Sikkelcelziekte, Stikstofmonoxide (NO)

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Correlaties tussen echocardiografische metingen (Tricuspidalis Regurgitant Jet Velocity Value; m/s) en FeNO gehalten (alveolair en bronchiaal) zullen worden vastgesteld om de voorspellende waarde van FeNO bij PH te bepalen.

Secundaire uitkomstmaten

Evaluatie van (genetische) risico factoren voor het ontwikkelen van PH in kinderen met SCD.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Door de verbeterde zorg voor sikkelcel patienten (sickle cell disease; SCD) in de westerse wereld, neemt weliswaar de levensverwachting van patienten toe, maar ontstaan ook nieuwe complicaties zoals pulmonale hypertensie. Pulmonale hypertensie (PH) is een ernstige complicatie die geassocieerd is met een vroege mortaliteit en komt bij 30-34% van volwassen SCD patienten voor. PH wordt gediagnostiseerd d.m.v. hartcatheterisatie, maar kan ook d.m.v. echocardiografie worden vastgesteld, aangezien tricuspidalis peak snelheden correleren met rechter atrium drukken bij hartcatheterisatie. Stikstofmonoxide (nitric oxide; NO) depletie door chronische hemolyse bij SCD patienten is een belangrijke factor in de pathogenese van PH bij SCD. Sullivan et al. hebben ook inderdaad een verlaagd NO aangetoond in de uitademingslucht van kinderen met SCD, maar niet gecorreleerd met voorkomen van PH. Wij hypothetiseerden dat het FeNO gehalte (fraction of exhaled NO) in de uitademingslucht mogelijk van voorspellende waarde is bij het vaststellen van PH.

Doel van het onderzoek

1. Vaststellen van de prevalentie van PH in onze patientengroep door gestandaardiseerd echocardiografie;

2. Analyse van de voorspellende waarde van alveolair and bronchiale FeNO-metingen voor PH in SCD patienten;
3. Evaluatie van (genetische) risico factoren voor PH in SCD patienten (ernst hemolyse, HbF gehalte, methemoglobine gehalte, DNA analyse).

Onderzoeksopzet

Observationele pilot studie (n = 20). Wanneer longfunctieonderzoek in deze pilot studie goed uitvoerbaar blijkt zal de totale patientengroep (n=120) in een prospectieve observationele studie worden onderzocht met een interim analyse na 50 patienten. Spirometrie en FeNO metingen zullen in patientengroep worden uitgevoerd zoals in eerdere door U geccoordeerde studies (M.W.H. Pijnenburg; Protocol ID/ number: MEC212.505/2002/92, MEC203.288/2001/164, MEC194.549/2000/180).

Inschatting van belasting en risico

Aanvullend zullen een spirometrie onderzoek met FeNO meting worden verricht (30 minuten, niet invasief, verwaarloosbaar risico) tijdens reeds gemaakte follow-up afspraken in het kader van de gebruikelijke uitgebreide jaarlijkse evaluatie.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr. Molewaterplein 60
3015 GJ Rotterdam
Nederland

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr. Molewaterplein 60
3015 GJ Rotterdam
Nederland

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Patient met sikkelcelziekte, 12 tot 18 jaar oud.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Acute of ernstige ziekte, recente bloedtransfusie (< 3 maanden van tevoren), onvoldoende beheersing van de Nederlandse taal.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 17-03-2009

Aantal proefpersonen: 20

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 25-11-2008

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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
CCMO	NL23409.078.08