

Gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven bij kinderen die wegens refractaire GVHD behandeld zijn met mesenchymale stamcellen- een multicenter onderzoek.

Gepubliceerd: 08-05-2008 Laatste bijgewerkt: 10-05-2024

Onderzoek naar de gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (HRQoL) van kinderen die na BMT GvHD hebben ontwikkeld en bij wie de traditionele behandeling met steroïden niet tot resultaat heeft geleid. Deze kinderen hebben een behandeling gekregen...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON32001

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Kwaliteit van leven na behandeling met MSC's

Aandoening

- Overige aandoening
- Leukemieën
- Immunodeficiëntiesyndromen

Synoniemen aandoening

beenmergtransplantaties, maligne ziekten

Aandoening

Beenmergtransplantatie

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum
Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: GVHD, kinderen, kwaliteit van leven, MSC

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (PEDSQL) en klinische status van de studie-patiënten, vergeleken met controlepatiënten.

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Hematopoietische stamceltransplantaties (HSCT) worden met succes uitgevoerd bij kinderen sinds de jaren 1960, waarbij patiënten met hematologische ziekten, immuundeficienties en metabole ziekten genezen kunnen worden. Voor veel van deze kinderen is HSCT de enige curatieve optie.

Ondanks verbeteringen in pre-transplantatie immuun suppressie en and donor HLA typering methodes (en dus donor selectie), acute Graft-versus-host-disease (aGVHD) blijft een significante oorzaak van transplantatie-gerelateerde mortaliteit and morbiditeit na allogene stamceltransplantatie.

De eerste behandeling voor aGVHD bestaat uit behandeling met steroiden, soms in combinatie met CSA, of tacrolimus. De meerderheid van de centra gebruikt methyl prednisolone 2.0 mg/kg/dag. Ongeveer 50% van de patiënten geneest hiermee of verbetert voldoende, maar de meerderheid heeft extra behandeling nodig, die tot op heden niet tot voldoende resultaten leidt.

Op dit moment is er geen consensus over de beste behandeling van 'steroid refractaire' aGVHD. Acute GvHD wordt steroid refractair genoemd als er geen response is op de methyl prednisolone van 2.0 mg/kg/dag na een week, of als er

toenemende ziekteprogressie is, 72 uur na deze dosis.

Verschillende opties zijn inmiddels geprobeerd en geëvalueerd als vervolgbehandelingen. Helaas is bij de meeste van de behandeling de kans op overlijden voor de patiënt nog steeds zeer groot.

Recentelijk is de infusie van mesenchymale stamcellen (MSC's) van een derde partij (tweede donor) beschreven als effectief in het verminderen van GvHD nadat alle andere behandelingen zonder resultaat waren gebleven. De leidende hypothese is dat MSC's krachtige immune-modulatory functies moduleren die effectief T cellen aanpakken en dus GvHD kunnen verminderen of stoppen. Een multicenter studie waarbij MSC infusies zijn gegeven aan sterioïde refractaire patienten heeft geleid tot een response van 70% en een overleving in de buurt van 40%.

Doel van het onderzoek

Onderzoek naar de gezondheidsgelateerde kwaliteit van leven (HRQoL) van kinderen die na BMT GvHD hebben ontwikkeld en bij wie de traditionele behandeling met sterioïden niet tot resultaat heeft geleid. Deze kinderen hebben een behandeling gekregen met mesenchymale stam cellen. Vroeger overleden kinderen met ernstige, niet onder controle te krijgen, GVHD.

Nu er een behandeling is gevonden om deze kinderen 'in leven te houden', is het belangrijk om de kwaliteit van leven van deze kinderen in beeld te brengen: hoe functioneren zij op diverse terreinen en -vooral hoe beoordelen zij hun eigen functioneren?

Onderzoeksopzet

Het onderzoek bestaat uit twee gedeeltes:

I. Een prospectief gedeelte, waarbij alle nieuwe BMT-patiënten met GVHD worden gevolgd, of ze nu MSC's nodig hebben of niet. Patiënten die MSC's krijgen komen in de onderzoeksgroep, patiënten voor wie dit niet nodig is, vormen de controlegroep. Er wordt vier keer een tweetal korte vragenlijsten afgenomen. Tijds punten: minimaal 1 maand na MSC infusie en dan 3, 6 en 12 maanden na MSC infusie.

II. Een retrospectieve studie, waarbij de nu levende kinderen (ongeveer 18) op vier momenten in de tijd worden gevraagd hun HRQoL te beoordelen. Tijds punten: bij aanvang van de studie (hopelijk begin januari 2008) en dan 3, 6 en 12 maanden later.

Inschatting van belasting en risico

De patiënten wordt vier keer gevraagd om twee korte vragenlijsten in te vullen, dit kost telkens 10 minuten. De klinische onderzoeken vinden plaats gedurende de reguliere bezoeken bij de arts op de polikliniek.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Albinusdreef 2
2300 RC Leiden
Nederland

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Albinusdreef 2
2300 RC Leiden
Nederland

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Patienten die zijn behandeld met MSC's wegens refractaire GVHD, minimaal 1 maand na infusie.

Verwacht wordt dat de patiënt langer dan 1 maand te leven heeft.

Kinderen (en ouders) die hebben getekend voor deelname

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Kinderen met een levensverwachting van minder dan 1 maand.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Anders

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-01-2008
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

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	NL20408.058.07