

Prospectieve studie naar de vroege immuunreactie op blootstelling aan factor VIII in voorheen onbehandelde patiënten met ernstige hemofilie A

Gepubliceerd: 02-11-2009 Laatste bijgewerkt: 04-05-2024

Het doel van deze studie is om inzicht te krijgen in de ontwikkeling van remmers bij ernstige hemofilie A. We willen onderzoeken hoe het afweersysteem reageert op het ingespoten factor VIII tijdens de eerste vijftig giften. Deze gegevens zouden...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON33198

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PUPS

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

Bloederziekte, Hemofilie A

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Faktor VIII, Hemofilie A, Immuunreactie, Remmer

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Het identificeren van F VIII specifieke geheugen B-cellen.
- Het karakteriseren van T-cel epitopen
- Het meten van cytokine/interleukine secretie door factor VIII specifieke B en T cellen.

Secundaire uitkomstmaten

- FVIII gen mutatie
- Polymorfismes in TNFA, IL10, CTLA4, MHC klasse II en andere immunoregulerende genen.
- Copy number variations in het FCGR gen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het ontstaan van remmende antistoffen (remmers) tegen factor VIII is een ernstige bijwerking van de behandeling met stollingsproducten voor hemofilie A. Remmers ontstaan doordat het lichaam het ingespoten factor VIII niet herkend. Er ontstaat vervolgens een afweerreactie van het lichaam, waardoor remmers worden gevormd. De remmers blokkeren de werking van het ingespoten factor VIII product, waardoor het behandelen van bloedingen of het voorkomen van bloedingen bij operaties moeilijk wordt. Ongeveer 25% van alle patiënten met ernstige hemofilie A krijgt te maken met remmers. De remmers ontstaan tijdens de eerste behandelingen met factor VIII product. Waarom sommige hemofilie A patiënten remmers wel krijgen en anderen niet is niet helemaal bekend.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is om inzicht te krijgen in de ontwikkeling van remmers bij ernstige hemofilie A. We willen onderzoeken hoe het afweersysteem reageert op het ingespoten factor VIII tijdens de eerste vijftig giften. Deze gegevens zouden mogelijk kunnen helpen voorspellen welke patiënten remmers krijgen, zodat we deze ernstige complicatie in de toekomst eventueel kunnen voorkomen en/of behandelen.

Onderzoeksopzet

Gedurende een periode van 2 jaar zullen 20 voorheen onbehandelde patiënten met ernstige hemofilie A geïnccludeerd worden. Van deze patiënten zullen we klinische gegevens noteren en bij elke gift van het FVIII product (tot 50 giften) zullen we bloed afnemen voor onderzoek. Uit het bloed zullen we DNA, T-cellen en B-cellen isoleren om mogelijk predictieve markers te onderzoeken.

Inschatting van belasting en risico

De risico's die verbonden zijn aan dit onderzoek zijn de risico's van een bloedafname. Het afnemen van bloed kan op de plaats waar de naald de huid binnendringt tijdelijk pijnlijk zijn, evenals een bloeding of blauwe plek opleveren. Echter de veneuze toegang (het infuus), waaruit het bloed zal worden afgenomen, is in alle gevallen reeds voor behandeldoelinden aanwezig. Aangezien het een geringe hoeveelheid bloed betreft, kan dit gezien worden als een minimaal risico voor de proefpersoon.

De belasting van het afnemen van een korte vragenlijst en de bloedafname via het infuus dat reeds aanwezig is voor het toedienen van stollingsconcentraat is minimaal en weegt ons inziens op tegen het potentiële voordeel van inzicht te verkrijgen in de vroege immuunreactie tegen stollingsconcentraten.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1105 AZ Amsterdam
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1105 AZ Amsterdam
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Ernstige hemofilie A

Voorheen onbehandelde patiënten

Minimaal behandelde patiënten (< 5 blootstellingen aan faktor VIII concentraat)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Milde en matig ernstige hemofilie A

Voorheen behandelde patiënten (>5 blootstellingen aan faktor VIII concentraat)

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blindering:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	16-06-2009
Aantal proefpersonen:	20
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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	NL28069.018.09