

Een multicenter, longitudinale, observationele studie van patiënten met autosomaal-dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD) om de snelheid, karakteristieken en bepalende factoren van de ziekteprogressie te bepalen

Gepubliceerd: 21-03-2012 Laatste bijgewerkt: 28-04-2024

Bepalen en karakteriseren van factoren die snelle progressie naar, of hogere frequentie van, klinisch relevante morbiditeit bij ADPKD voorspellen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Nefropathieën
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON36219

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Otsuka No. 156-10-291

Aandoening

- Nefropathieën

Synoniemen aandoening

ADPKD, cystenieren

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Otsuka America Pharmaceutical

Overige ondersteuning: Otsuka America Pharmaceutical

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ADPKD

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primair:

- Onderzoeken van een correlatie tussen de snelheid van niervergroting en de afname van de nierfunctie bij ADPKD-patiënten
- Het nut bepalen van nieuwe volumemetingen als een prognostische marker van ziekteprogressie

Secundaire uitkomstmaten

Secundair:

- Evalueren en bepalen van de mate van, en verbanden tussen, de invloed van de ziekte op door de patiënt gemelde uitkomsten (PRO's) voor pijn, gezondheidsgelateerde kwaliteit van leven (HRQoL) en ADPKD-gerelateerde belasting van de gezondheid
- Evalueren van de invloed van de ziekte op het gebruik van medische hulpmiddelen (MRU) en op de productiviteit

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Autosomale dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD) is de meest voorkomende erfelijke nierziekte. Het wordt veroorzaakt door een van de twee bekende genen, polycystin 1(PKD1) en polycystin 2(PKD2). De ziekte wordt gekenmerkt door progressieve ontwikkeling van meerdere niercysten die geleidelijk meer invloed hebben op het omringende parenchym. Dit resulteert in niervergroting dat meestal tot nierfalen zal leiden op latere leeftijd bij deze patiënten. Vroege symptomen van deze ziekte zijn: verminderd urine concentreren vermogen, hypertensie, nierpijn, nierinfectie, nefrolithiasis en hematurie. Deze symptomen zijn in eerdere studies geassocieerd met grotere niervolumes en meer renale parenchym schade. De start van deze symptomen en prognose verschilt van patiënt tot patiënt, maar er wordt verondersteld dat dit gerelateerd is aan de snelheid en omvang van de cystegroei.

ADPKD is een chronische, langzaam progressieve ziekte, waarbij er een uitdaging ligt bij de ontwikkeling van nieuwe farmacologische therapieën. Tot op heden zijn er zeer weinig gegevens verzameld over het natuurlijk beloop van ziekteprogressie (prospectief en longitudinaal onderzoek) van patiënten in verschillende stadia van ADPKD. Terwijl er meer en meer gegevens beschikbaar zijn over behandeling, resulteert dit gebrek aan informatie in problemen; niet alleen op het vlak van de ontwikkeling van therapieën, maar ook op het vlak van de identificatie van patiënten die van deze therapieën zouden kunnen profiteren wanneer ze beschikbaar zijn. Daarom is onderzoek van de kenmerken van ADPKD patiënten in een grote populatie en de prognose na verloop van tijd uitgegroeid tot een belangrijk aspect in het onderzoek naar ADPKD.

Doel van het onderzoek

Bepalen en karakteriseren van factoren die snelle progressie naar, of hogere frequentie van, klinisch relevante morbiditeit bij ADPKD voorspellen.

Onderzoeksopzet

Dit is een wereldwijde, multicenter, observationele, longitudinale studie ter beoordeling van de snelheden, karakteristieken en bepalende factoren van ziekteprogressie bij patiënten met ADPKD behandeld in de gebruikelijke omstandigheden van de klinische praktijk.

Er wordt verwacht dat elke proefpersoon wordt gevolgd met halfjaarlijkse bepalingen om de nierfunctie en andere klinische criteria voor ADPKD-progressie te bepalen. Informatie over het gebruik van alle medische hulpmiddelen zal worden verzameld om de zorgkosten in de loop van de verschillende ziektestadia te evalueren. Deze studie zal eveneens de invloed van ziekteprogressie op pijn,

HRQoL, dagelijkse productiviteit en ADPKD-gerelateerde belasting beoordelen, door middel van evaluaties van PRO's.

Inschatting van belasting en risico

Afname van bloed uit een arm kan pijn, blauwe plekken, een licht gevoel in het hoofd en (in zeldzame gevallen) infectie veroorzaken. Tijdens de MRI-scans liggen patiënten op hun rug in de scanner, hierbij kan claustrofobie optreden. Ook kan het lawaai dat het MRI-apparaat maakt onaangenaam zijn.

Contactpersonen

Publiek

Otsuka America Pharmaceutical

2440 Research Boulevard
Rockville, Maryland 20850, United States
US

Wetenschappelijk

Otsuka America Pharmaceutical

2440 Research Boulevard
Rockville, Maryland 20850, United States
US

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Leeftijd van 12 tot en met 70 (18 tot en met 70 in Nederland)
2. Huidige diagnose van ADPKD volgens de aangepaste Ravine criteria:
 - Met positieve familieanamnese: meerdere cysten per nier (3 bij echografie of 5 bij CT of MRI)
 - Zonder positieve familieanamnese: 10 cysten (ongeacht welke radiologische methode) per nier en exclusie van andere cystevormende nierziekte.
3. Wilsbekwaam (in staat het informed consent te begrijpen en te tekenen voordat de studie van start gaat en tijdens de studie).
4. Totaal niervolume ≥ 300 cc/m lengte gemeten via echo (maximaal een jaar voor het baselineonderzoek) of ≥ 250 cc/m lengte gemeten via MRI (maximaal een jaar voor het baselineonderzoek)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Elke medische conditie die volgende de onderzoeksarts zou kunnen interfereren met de evaluatie van de studieobjecten (bv. Niet kunnen afnemen van een MRI)
2. Huidige of verwachte (binnen de volgende 6 maanden) interventie van de behandeling van ADPKD die het niervolume kan beïnvloeden zonder goedkeuring van de sponsor.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	05-04-2012

Aantal proefpersonen: 100
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 21-03-2012
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

Goedgekeurd WMO
Datum: 22-03-2013
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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	NL37334.042.11