

Botdichtheid als behandelingsuitkomst bij ernstige hemofilie

Gepubliceerd: 29-09-2010 Laatste bijgewerkt: 30-04-2024

1 Vergelijken van botdichtheid tussen patiënten met milde en ernstige hemofilie (hieraan zullen geen Nederlandse patiënten bijdragen)2 Vergelijken van botdichtheid tussen patiënten behandeld met hoge dosis profylaxe (Zweden) , lage dosis profylaxe (...)

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

Samenvatting

ID

NL-OMON36273

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

botdichtheid bij hemofilie

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
- Bloed- en lymfestelselaandoeningen, congenitaal
- Botafwijkingen (excl. congenitaal en breuken)

Synoniemen aandoening

broze botten, osteoporose

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Malmö University Hospital

Overige ondersteuning: door Universiteits ziekenhuis Malmö

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: botdichtheid, ernstige hemofilie, profylactische behandeling

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Bot densiteit total BMD, uitgedrukt in Z score

Secundaire uitkomstmaten

Fysieke activiteit uitgedrukt in METS (gemeten met MAQ vragenlijst)

gewrichtsstatus gemeten met Haemophilia Joint Health Score

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Ernstige hemofilie is een congenitale deficiëntie van stollingsfactor VIII of IX, resulterend in recidiverende spontane gewrichtsbloedingen die uiteindelijk leiden tot ernstige invaliderende gewrichtsschade.

Sinds begin 70-er jaren is er intraveneuze suppletie met stollingsfactoren mogelijk en wordt dit profylactisch (ter voorkoming van bloedingen) gegeven in Zweden en Nederland. Noorwegen is pas enkele jaren geleden begonnen met het toepassen van profylaxe. De stollingsfactorconcentraten zijn erg duur en in Zweden wordt een twee keer zo hoge dosis gebruikt als in Nederland (gemiddeld 240.000 vs 120.000 Euro per jaar voor een volwassen patient).

Het gaat in dit project om een onderzoek naar botdichtheid in Zweedse, Noorse en Nederlandse patiënten. Omdat botontkalking wordt gezien bij chronische ziekten en bij gebrek aan lichamelijke activiteit, is het mogelijk dat dit een hele goede maat is voor het meten van de resultaten van (profylactische) hemofiliebehandeling, temeer omdat we verwachten dat de klinische verschillen tussen Zweedse en Nederlandse patienten klein zullen zijn.

Doel van het onderzoek

- 1 Vergelijken van botdichtheid tussen patienten met milde en ernstige hemofilie (hieraan zullen geen Nederlandse patienten bijdragen)
- 2 Vergelijken van botdichtheid tussen patienten behandeld met hoge dosis profylaxe (Zweden) , lage dosis profylaxe (Nederland) en zonder profylaxe (Noorwegen).
- 3 Bestuderen van de relatie tussen fysieke activiteit en botdichtheid

in patienten met ernstige hemofilie.

Onderzoeksopzet

Cross sectionele cohort studie

omdat de verschillen in behandeling gekoppeld zijn aan het land van herkomst, is het mogelijk om de gehele cohorten te meten en met elkaar te vergelijken teneinde de vragen te beantwoorden

Inschatting van belasting en risico

omdat het merendeel van de gegevens al verzameld zijn voor een eerdere studie, (dit is voor ons ook de reden om alleen deze patienten te includeren) is de belasting in dit geval alleen het tekenen van informed consent en het ondergaan van een DEXA scan- duur ongeveer 30 min- die gepaard gaat met een zeer lage stralenbelasting.

Hieraan zijn geen risico's verbonden.

Contactpersonen

Publiek

Malmö University Hospital

Universitetssjukhuset MAS
SE 20502 Malmö
SE

Wetenschappelijk

Malmö University Hospital

Universitetssjukhuset MAS
SE 20502 Malmö
SE

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)

ernstige hemofilie A of B (FVIII/IX < 1%), volwassen (minimum leeftijd 18 jaar), geboren vanaf 1970

informed consent verkregen

behandeld volgens Van Creveldkliniek protocol (profylaxe)

participated in study (High dose vs intermediate dose prophylaxis for severe haemophilia:

long term outcome and costs. METC UMCU nr 06-002).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

remmers tegen FVIII/IX

aanwezigheid van botmetastasen (maligne)

behandeling met corticosteroiden

gewicht > 135 kilo

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	13-12-2010
Aantal proefpersonen:	50
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-09-2010
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-03-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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	NL29601.041.10