

Chronische ITP bij kinderen in Nederland

Gepubliceerd: 12-05-2011 Laatste bijgewerkt: 04-05-2024

Het primaire doel van deze studie is het identificeren van parameters die het risico op bloedingen voorspellen bij kinderen met chronische ITP. Secundaire doelstellingen zijn: 1) het onderzoeken of kinderen met chronische ITP verschillen van...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON36447

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CIN-KID studie: Chronische ITP in Nederland bij Kinderen

Aandoening

- Plaatjesaandoeningen
- Auto-immuunziekten

Synoniemen aandoening

afbraak van bloedplaatjes door antistoffen, immuungemedieerde trombopenie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: deels door Landsteiner Stichting; deels door nog aan te vragen fondsen

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: bloedingsneiging, chronische ITP, kwaliteit van leven

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste studieparameter is de correlatie tussen laboratoriumparameters voor het bepalen van de plaatjesfunctie en de klinische bloedingsneiging van kinderen met chronische ITP.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire studieparameters zijn

- 1) de hoeveelheid en de functie van de regulatoire T-cellen bij kinderen met chronische ITP
- 2) de reactie op behandeling(en) bij patiënten met chronische ITP en het meten van biologische parameters die mogelijk gerelateerd zijn aan deze respons
- 3) Kwaliteit van leven bij kinderen met chronische ITP en hun ouders.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Acute immuungemedieerde trombopenie (ITP) bij kinderen is een aandoening waarbij auto-immuun gemedieerde plaatjesdestructie plaatsvindt. Acute ITP wordt gekenmerkt door een typische anamnese van acuut ontstane hematomen en petechiën bij een tevoren gezond kind. De incidentie is ongeveer 5 per 100.000 kinderen / jaar.

De meeste kinderen met recent gediagnosticeerde ITP herstellen binnen 6-12 maanden. Ongeveer 25% van de kinderen is na zes maanden nog steeds trombocytopeen. Bij deze kinderen spreekt men van chronische ITP, gedefinieerd als een trombocytenaantal van minder dan $100 \times 10^9/L$ gedurende meer dan 12 maanden. Ondanks belangrijke vooruitgang in het begrijpen van de pathofysiologie van ITP en de werkingsmechanismen van verschillende behandelingen, blijven er meerdere klinische dilemma's bestaan, te weten:

- 1) de identificatie van patiënten die risico lopen op ernstige bloedingen
- 2) het onvermogen om het ziektebeloop en de respons op therapie te voorspellen

Hoewel ernstige bloedingen slechts bij 3-6% van alle patiënten optreden, betekent de trombocytopenie een belangrijke beperking voor allerlei activiteiten in het dagelijks leven, omdat risicofactoren voor ernstige bloedingen zoveel mogelijk vermeden dienen te worden. De ziekte heeft daarom een belangrijke invloed op de kwaliteit van leven van kinderen en hun ouders.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van deze studie is het identificeren van parameters die het risico op bloedingen voorspellen bij kinderen met chronische ITP. Secundaire doelstellingen zijn: 1) het onderzoeken of kinderen met chronische ITP verschillen van kinderen met nieuw gediagnosticeerde ITP en volwassenen met chronische ITP, met betrekking tot de hoeveelheid en de functie van regulatoire T-cellen. 2) Het vastleggen van de klinische en laboratorium reactie op de gegeven behandeling(en) en het identificeren van biologische parameters die mogelijk gerelateerd zijn aan deze reactie. 3) Het bepalen van de gezondheid gerelateerde kwaliteit van leven bij kinderen met chronische ITP en hun ouders.

Onderzoeksopzet

Het betreft een multicenter observationele studie

Inschatting van belasting en risico

In deze studie wordt een anamnese en lichamelijk onderzoek uitgevoerd bij kinderen met chronische ITP tijdens een regulier polikliniek bezoek. Tijdens de reguliere bloedafname zal 30 ml extra bloed afgenomen worden voor de studie. Deze hoeveelheid is <0,1% van het totale bloedvolume en dusdanig beperkt dat er geen nadelige gevolgen voor patiënten te verwachten zijn. Ten slotte zullen alle ouders, en vanaf de leeftijd van zeven jaar ook de patiënten zelf, worden gevraagd om een vragenlijst invullen met betrekking tot de kwaliteit van leven bij chronische ITP.

ITP bij kinderen is een andere ziekte dan ITP bij volwassenen met betrekking tot klinisch beloop, respons op de behandeling, evenals veronderstelde etiologie. De reactie op verschillende soorten van de behandeling, vooral immunomodulerende behandeling, verschilt ook tussen kinderen en volwassenen met ITP. Om onze vragen te beantwoorden, kan dit onderzoek niet worden uitgevoerd bij een volwassen populatie.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
3508 AB Utrecht
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
3508 AB Utrecht
NL

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)

Leeftijd 1 t/m 17 jaar
ITP met een duur van meer dan 12 maanden
Bekend bij een kinderhematoloog

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Verschuiven die niet passen bij chronische ITP, zoals de aanwezigheid van andere auto-

immuun fenomene, andere cytopenieën naast trombopenie, kenmerken verdacht voor erfelijke trombocytopenie
Geen informed consent

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 31-05-2011

Aantal proefpersonen: 60

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-05-2011

Soort: Eerste indiening

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	NL33740.041.10