

UBIOPRED: het begrijpen van ernstig astma bij kinderen

Gepubliceerd: 01-02-2012 Laatste bijgewerkt: 27-04-2024

Specifieke doelen (in aansluiting op bovenstaande) zijn: 1. Het samenstellen van cohorten van schoolgaande kinderen met ernstig astma (100 deelnemers), schoolgaande kinderen mild-middelmatig astma (50 deelnemers), jonge kinderen met ernstig piepende...

Ethische beoordeling	-
Status	Werving gestart
Type aandoening	Luchtwegaandoeningen NEG
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON36534

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

UBIOPRED: het begrijpen van ernstig astma bij kinderen

Aandoening

- Luchtwegaandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

astma

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Europese Unie, Innovative Medicines Initiative (IMI)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: astma, biomarker, fenotype, kinderen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

In het onderzoek worden meerdere parameters bestudeerd (waaronder klinische, functionele, cellulaire, moleculaire en gerapporteerde uitkomsten) in groepen van kinderen met astma cq een piepende ademhaling. Alle uitkomsten worden geïntegreerd tot een ziekteprofiel (fenotype). Voor iedere parameter zijn een aantal uitkomstmaten geselecteerd:

Klinische uitkomstmaten:

- aantal, duur en ernst van exacerbatie tijdens het verloop van de studie;
- verandering in longfunctie tijdens het verloop van de studie;
- verandering in astma medicatie gebruik, mn inhalatiecorticosteroiden, tijdens het verloop van de studie;
- de astma controle test (ACT of pediatrische astma controle test (PACT) bij aanvang en bij veranderingen gedurende het verloop van de studie;
- symptomen van de bovenste luchtwegen obv de ISAAC rhinitis vragenlijst bij aanvang en bij veranderingen gedurende het verloop van de studie;

Functionele uitkomstmaten:

- longfunctie, gemeten mbv spirometrie, bronchodilator reversibiliteit en/of respiratoire impedantie mbv 'FOT' (Forced Oscillation Technique)

Cellulaire uitkomstmaten:

- aantallen van inflammatoire cellen in bloed, slijm en BAL (indien bronchoscopie medisch geïndiceerd en hiervoor toestemming is gegeven)
- histopathologische bipten (indien bronchoscopie medisch geïndiceerden en hiervoor toestemming is gegeven)

Moleculaire uitkomstmaten:

- transcriptomics, proteomics en metabolomics in bloed, urine, uitademingslucht en endobroncheale bipten (indien bronchoscopie medisch geïndiceerd en hiervoor toestemming is gegeven), dmv meerdimensionale analyse van DNA, RNA, eiwitten, cellen, vluchtige organische componenten, metabolieten

Kwalitatieve uitkomstmaten:

- pediatrie kwaliteit van leven vragenlijsten
- pediatrie astma verzorgers kwaliteit van leven vragenlijsten

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Kinderen met ernstig astma vormen een heterogene groep met frequente exacerbaties en/of progressieve luchtwegobstructie ondanks intensieve behandeling. De ontwikkeling van nieuwe behandelingen voor deze patientengroep wordt belemmerd door de heterogene pathogenese, gebrek aan consensus over diagnostische criteria, de moeilijkheid van translatie van preklinische humane en dierlijke modellen naar effectiviteit van medicatie en de afwezigheid van biomarkers die effectiviteit van medicatie voorspellen. Het doel van UBIOPRED is om deze knelpunten te overwinnen mbv een stapsgewijze

strategie obv onbevooroordeelde ('unbiased') analyse van multidimensionale minimaal-invasieve biomarkers. Identificatie van nieuwe fenotypes zal bijdragen aan de voorspelling van ziektebeloop en gerichte behandeling.

Doel van het onderzoek

Specifieke doelen (in aansluiting op bovenstaande) zijn:

1. Het samenstellen van cohorten van schoolgaande kinderen met ernstig astma (100 deelnemers), schoolgaande kinderen mild-middelmatig astma (50 deelnemers), jonge kinderen met ernstig piepende ademhaling (100 deelnemers) en jonge kinderen met mild-middelmatig piepende ademhaling (50 deelnemers).
2. Het karakteriseren van deze cohorten (300 deelnemers) obv klinische kenmerken, fysiologische metingen en minimaal-invasieve biomarkers (in sputum, uitademingslucht en bloed) in een cross-sectioneel onderzoek.
3. Het herhalen bovenstaande cross-sectionele metingen in een longitudinale studie in bovenstaande cohorten.
4. Het ontwikkelen van nieuwe fenotypes voor schoolgaande en jonge kinderen met astma (cq een piepende ademhaling) op basis van de cross-sectionele en de longitudinale gegevens.

Ad 1. Het Nederlandse cohort betreft 20 schoolgaande kinderen met ernstig astma, 20 schoolgaande kinderen met mild-middelmatig astma, 15 jonge kinderen met ernstig piepende ademhaling en 10 jonge kinderen met mild-middelmatig piepende ademhaling.

Onderzoeksopzet

UBIOPRED is een multi-centre prospectieve observationele studie.

Inschatting van belasting en risico

De betreffende minimaal-invasieve onderzoeken worden in de klinische praktijk veelvuldig en veilig toegepast bij kinderen met ernstig astma. Wanneer een of meerdere van deze onderzoeken op medische indicatie recentelijk reeds verricht is, hoeft het onderzoek niet ten behoeve van de studie opnieuw verricht te worden. Bronchoscopie onderzoek wordt alléén op medische indicatie en na schriftelijke toestemming van ouders verricht.

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

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

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Ernstig astma kindercohort: 6-17 jaar oud, persisterende astmasymptomen of frequente ernstige exacerbaties of persisterende bronchusobstructie ondanks hoge dosering inhalatie corticosteroiden of onderhoudsmedicatie van orale corticosteroiden.

Mild astma kindercohort: 6-17 jaar oud, gecontroleerd astma (volgens GINA richtlijnen) met lage of middelhoge dosering inhalatie corticosteroiden.

Ernstig 'wheeze' kindercohort: 1-5 jaar oud, persisterende symptomen of frequente ernstige exacerbaties ondanks hoge dosering inhalatie corticosteroiden of onderhoudsmedicatie van orale corticosteroiden.

Mild 'wheeze' kindercohort: 6-17 jaar oud, symptomen die onder controle zijn (volgens GINA richtlijnen) met lage of middelhoge dosering inhalatie corticosteroiden.

Zie pagina 35 t/m 40 van het protocol voor meer specifieke inclusiecriteria.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. De verantwoordelijke arts beoordeeld het kind als ongeschikt voor deelname obv anamnese, lichamelijk onderzoek of screenend onderzoek.
2. Het kind heeft een voorgeschiedenis van medicatie- of andersoortige allergie op basis waarvan de onderzoeker het kind ongeschikt voor deelname acht.
3. Het (oudere) kind is zelf zwanger, 6 weken post partum, geeft borstvoeding, of heeft tot 6 weken geleden nog borstvoeding gegeven. Ook wanneer achteraf blijkt dat het kind ten tijden van het onderzoek zwanger was, zullen de betreffende gegevens niet worden gebruikt.
4. Het kind heeft binnen 3mnd deelgenomen aan een studie met nieuwe medicatie of invasieve procedures. Ieder U-BIOPRED onderzoek dient uitgesteld te worden tot 3mnd na studiemedicatie of invasieve studieprocedures. Toestemming van de Wetenschapscommissie is vereist voor de inclusie of het vervolg van een kind dat ook aan een andere studie deelneemt.
5. Kinderen (met ouders) die naar inschatting van de onderzoeker niet zullen/kunnen voldoen aan alle studieonderdelen.
6. Prematuriteit <37 weken
7. Het kind is van medicatie veranderd binnen 4wk voorafgaand aan de screeningsprocedure. (De screeningsprocedure dient te worden uitgesteld.)
8. Het kind heeft een voorgeschiedenis of recent bewijs van een bovenste of onderste luchtweginfectie of symptomen hiervan (waaronder verkoudheid) binnen 2 weken voorafgaand aan het eerste onderzoek. (Onderzoek dient te worden uitgesteld.)
9. Het kind heeft een ernstige exacerbatie (waarvoor SEH bezoek of ziekenhuisopname en/of hoge dosering orale corticosteroiden gedurende tenminste 3dg nodig is) binnen 4 weken voorafgaand aan het eerste onderzoek. (Onderzoek dient te worden uitgesteld.)

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	22-11-2011
Aantal proefpersonen:	65
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Niet beschikbaar

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	NL34765.018.11