

Gerandomiseerde landelijke studie naar individualisering van groeihormoonbehandeling in kinderen

Gepubliceerd: 14-08-2013 Laatst bijgewerkt: 22-04-2024

Het primaire doel van dit onderzoek is het effect beoordelen van een individuele versus een standaard groeihormoonbehandeling van 1 mg/m²/dag op de volwassen lengte en 1 en 5 jaars groeirespons. Verder willen wij de lange termijn veiligheid van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Endocriene en klierandoeningen NEG
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON38571

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Nationale SGA studie

Aandoening

- Endocriene en klierandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

dysmaturiteit, te klein voor de zwangerschapsduur

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Dutch Growth Research Foundation

Overige ondersteuning: De verschillende farmaceuten die groeihormoon produceren met een SGA-indicatie, Eli Lilly, Novo Nordisk, Pfizer

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Groeihormoon, Individuele behandeling, SGA

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Het effect van een individuele groeihormoondosering versus de standaard behandeling met 1 mg/m²/day op de volwassen lengte onderzoeken.
- Onderzoeken of het individualiseren van de groeihormoondosering resulteert in een vergelijkbare volwassen lengte als met de standaard behandeling van 1 mg/m²/day (non-inferiorty)

Secundaire uitkomstmaten

- Het effect van een individuele groeihormoondosering versus de standaard behandeling met 1 mg/m²/day op de 1 en 5 jaars groeirespons onderzoeken.
- De langetermijn veiligheid van groeihormoonbehandeling op glucose metabolisme en lichaamssamenstelling onderzoeken
- Het effect van groeihormoonbehandeling op psychosociale en neurologische ontwikkeling en intelligentie onderzoeken

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Ongeveer 2% van alle pasgeboren kinderen is bij de geboorte te klein voor de duur van de zwangerschap (SGA, small for gestational age). Kinderen die SGA geboren zijn met een persisterend extreem kleine lengte kunnen sinds 2003 behandeld worden met groeihormoon (GH). Alle kinderen worden behandeld met de standaard dosering van 1 mg/m²/dag. De groeirespons laat echter een grote variatie zien en niet iedereen reageert adequaat. De optimale dosering per individu is nog niet vastgesteld. De Ridder e.a. hebben een model ontwikkeld om de volwassen lengte

te voorspellen voor extreem kleine SGA geboren kinderen die gaan starten met GH. Met behulp van dit model kan voor elke patiënt een optimale GH dosering worden vastgesteld. Het doel van deze geïndividualiseerde behandeling is dat een groter percentage extreem kleine kinderen een normale lengte zal bereiken met de laagst mogelijke GH dosering. In onze gerandomiseerde studie zal het effect van een geïndividualiseerde behandeling worden vergeleken met de standaard behandeling van 1 mg/m²/dag.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van dit onderzoek is het effect beoordelen van een individuele versus een standaard groeihormoonbehandeling van 1 mg/m²/dag op de volwassen lengte en 1 en 5 jaars groeirespons. Verder willen wij de lange termijn veiligheid van groeihormoon op glucose metabolisme en lichaamssamenstelling beoordelen, het effect van groeihormoon op de psychosociale ontwikkeling en intelligentie vaststellen en mogelijke genetische oorzaken voor een te kleine lengte van SGA-geboren kinderen onderzoeken.

Onderzoeksopzet

Een gerandomiseerd, multicenter groeihormoon onderzoek

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patienten worden gerandomiseerd voor of de standaard dosering van 1 mg/m²/dag of een individuele dosering tussen de 0.7 en 2.0 mg/m²/dag

Inschatting van belasting en risico

Sinds juni 2005 is groeihormoonbehandeling geregistreerd voor te kleine SGA-geboren kinderen. Studies naar groeihormoon laten vooralsnog geen nadelige effecten zien van deze behandeling. Deelnemers bezoeken de lokale poliklinieken iedere 3 maanden. Jaarlijks wordt er bloed afgenomen en de botleeftijd beoordeeld middels een rontgenfoto van de linker hand en pols. Deze bezoeken en metingen zijn overeenkomstig met de nationale richtlijnen voor behandeling van te kleine SGA-geboren kinderen. Een subgroep deelnemers zal iedere 2 jaar naar het Erasmus MC / Sophia komen voor een meer uitgebreid onderzoek.

Contactpersonen

Publiek

Dutch Growth Research Foundation

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016 AH
NL

Wetenschappelijk

Dutch Growth Research Foundation

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016 AH
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)

- Geboortegewicht en/of geboortelengte < -2 SDS (Usher and McLean)
- Huidige lengte < -2.5 SDS (Nederlandse Referenties 1997)
- Lenget ≤ 1 SDS lager dan 'target height' SDS (TH SDS)
- Groeisnelheid (cm/jaar) voor chronologische leeftijd ≤ 0 SDS in prepubertaire kinderen
- Leeftijd bij start behandeling tussen 4 en 11 jaar voor jongens en tussen 4 en 9 jaar voor meisjes
- Botleeftijd (G&P) ≤ 13 jaar voor meisjes en ≤ 15 jaar voor jongens
- Goed gedocumenteerd groeigegevens vanaf geboorte tot 2-jarige leeftijd en minimaal 1 jaar voor start van de studie
- Toestemming

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Syndromen (behalve Silver Russel Syndroom), chromosomale afwijkingen en dysmorfieën suggestief voor een syndroom
- Ernstige psychomotore retardatie volgens de DMS IV
- Gecompliceerde neonatale periode
- Coeliakie en andere chronische/ernstige ziekten van het maag-darmstelsel, hart, urinewegen, lever, longen, skelet en centraal zenuwstelsel, of chronische of recidiverende ernstige infectieuze ziekten, voeding- en/of vitamine deficiënties
- Endocrine of metabole stoornis, behalve groeihormoondeficiëntie
- Genetische afwijkingen in het IGF-I receptor gen
- Medicatie in laatste 6 maanden die van invloed zou kunnen zijn op de groei
- Medicatie die de groeihormoonbehandeling zou kunnen beïnvloeden
- Actieve of behandelde maligniteit of een verhoogd risico op leukemie
- Verdenking op emotionele deprivatie als oorzaak van de te kleine lengte
- Verwachte slechte compliance

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-01-2014
Aantal proefpersonen:	300
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Genotropin
Generieke naam:	Somatropine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Humatrope
Generieke naam:	Somatropine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Norditropin
Generieke naam:	Somatropine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-08-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-11-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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
EudraCT	EUCTR2013-003100-39-NL
CCMO	NL45651.078.13