

Intraveneuze toediening van mesenchymale stamcellen bij patiënten met pulmonale arteriële hypertensie door systemische sclerose; een veiligheidsstudie.

Gepubliceerd: 22-12-2014 Laatste bijgewerkt: 22-04-2024

De belangrijkste doelstelling is het onderzoeken van de veiligheid en haalbaarheid van intraveneuze toediening van autologe, in vitro geëxpandeerde mesenchymale stamcellen bij patiënten met pulmonale arteriële hypertensie door systemische sclerose...

Ethische beoordeling	Afgewezen
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON41219

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MSC's bij patiënten met PAH en SSc.

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Longvaataandoeningen

Synoniemen aandoening

pulmonale arteriële hypertensie, verhoogde longvaatdruk

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Celtherapie, Mesenchymale stam cellen, Pulmonale arteriële hypertensie, Systemische sclerose

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Intraveuze toediening van in vitro geëxpandeerde beenmerg mesenchymale stamcellen wordt haalbaar geacht wanneer alle procedures kunnen worden uitgevoerd zoals beschreven in het protocol. Veiligheid zal worden uitgedrukt als de mate van (ernstige) events in de studie populatie gedurende 3 maanden follow-up.

Secundaire uitkomstmaten

Een eerste inzicht in werkzaamheid zal worden weergegeven als verandering na de procedure in kwaliteit van leven, NYHA klasse, inspanningstolerantie, BNP waarde, ECG en echografische kenmerken, longfuncite en longdrukken.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Patienten met systemische sclerose en pulmonale hypertensie hebben een slechte prognose met een één-jaars mortaliteit van 30%. Ondanks optimale behandeling ondervinden patiënten nog dagelijks klachten. Daarom zijn nieuwe behandelopties nodig. In pre-klinische studies wordt gesuggereerd dat intraveneuze toediening van mesenchymale stamcellen, afkomstig uit het beenmerg, een mogelijke behadeloptie kan zijn.

Doel van het onderzoek

De belangrijkste doelstelling is het onderzoeken van de veiligheid en haalbaarheid van intraveneuze toediening van autologe, in vitro geëxpandeerde mesenchymale stamcellen bij patiënten met pulmonale arteriele hypertensie door systemische sclerose.

Onderzoeksopzet

Zeven patiënten met systemische sclerose en pulmonale arteriele hypertensie worden geïncludeerd. 100ml beenmerg wordt afgenomen uit de crista iliaca. Mesenchymale stamcellen worden hieruit geïsoleerd en geëxpandeerd ex vivo. Na ongeveer 9 weken worden $5 \cdot 10^6$ cellen/ kg lichaamsgewicht intraveneus toegediend.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Beenmerg wordt afgenomen uit de crista iliaca. Geëxpandeerde stamcellen worden intraveneus toegediend en bereiken de pulmonale circulatie via de rechter hart helft.

Inschatting van belasting en risico

Gezien de slechte prognose van patiënten met pulmonale arteriele hypertensie bij systemische sclerose met een 1 jaars mortaliteit van 30%, is er noodzaak voor het vinden van nieuwe behandelmogelijkheden. Gezien pre-klinisch onderzoek aanwijzingen geeft voor een positief effect van celtherapie en eerdere studies waarbij mesenchymale stamcellen perifeer worden toegediend geen ernstige bijwerkingen tonen, lijkt het ons gerechtvaardigd te onderzoeken of celtherapie voor deze patiëntenpopulatie ook een mogelijkheid is.

Risicos:

Bloedingsrisico's na beenmergafname, intraveneuze injectie en rechter hart helft catheterisatie.

Infectierisico's na invasieve behandeling.

Röntgenstraling belasting (catheterisatie, X-thorax en CT-thorax)

Complicatie risico's catheterisatie (zie Nederlandse hartstichting)

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

albinusdreef 2

Leiden 2333za

NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

albinusdreef 2
Leiden 2333za
NL

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)

- Pulmonale arteriele hypertensie, gedefinieerd als een gemiddelde pulmonaal arterie druk (mPAP) > 25 mmHg in rust en een wedge druk (PCWP) < 15 mmHg
- Systemische sclerose, gediagnosticeerd volgen de systemische sclerose classificatie van The American College of Rheumatology
- optimale medicamenteuze PAH behandeling
- > 18 jaar en levensverwachting >3 maanden
- welwillend en in staat om hartcathterisatie en echografie te ondergaan
- schriftelijke toestemming
- Hemodynamisch en pulmonaal stabiel voor minimaal 3 maanden
- NYHA klasse 2 of hoger

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Aanwezigheid van maligniteit in afgelopen 5 jaar (behalve laaggradige niet-melanoom huid

maligniteit na volledige genezing)

- Gelijktijdige deelname aan ander experimenteel onderzoek (afgelopen 2 maanden)
- Pulmonale hypertensie door een andere oorzaak (linkszijdige hartziekte/ groep 2 of pulmonaal/ groep 3), beoordeeld door de PAH werkgroep
- Overige ernstige aandoeningen
- Bloedingsziekte, HIV of zwangerschap
- Enige andere situatie waardoor de onderzoeker twijfelt aan de veiligheid van de patient.
- Geen mogelijkheid tot het ondergaan van hartcatheterisatie of deelname aan vervolgonderzoeken

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Zal niet starten
Aantal proefpersonen:	8
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Generieke naam:	Somatische cellen autoloog

Ethische beoordeling

Afgewezen	
Datum:	16-12-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den

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	EUCTR2014-003133-26-NL
CCMO	NL50143.000.14