

Ontdekken van nieuwe targets in Sclerodermie

Gepubliceerd: 04-11-2013 Laatste bijgewerkt: 23-04-2024

Middels de inzichten die we verkrijgen uit dit onderzoek hopen we nieuwe therapeutische toepassingen te kunnen ontwikkelen die specifiek ingrijpen op ontregelde processen in fibroblasten van Systemische sclerose patiënten.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON41288

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Ontdekken van nieuwe targets in Sclerodermie

Aandoening

- Auto-immuunziekten
- Bindweefselaandoeningen (excl. congenitaal)
- Vasculaire huidafwijkingen

Synoniemen aandoening

Sclerodermie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: BioFocus

Overige ondersteuning: BioFocus

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Huidfibroblasten, Ontdekken nieuwe targets, Sclerodermie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Genen die in fibroblasten van patienten na uitschakeling zorgen voor een normaal fenotype van fibroblast.

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het immuunsysteem beschermt ons tegen indringers, zoals bacteriën, virussen en schimmels van buitenaf, maar bij een auto-immuun ziekte valt het immuunsysteem de lichaamseigen cellen aan. Ook Systemische sclerose wordt gerekend tot een auto-immuun ziekte. In het geval van Systemische sclerose gedragen de belangrijkste cellen van het bindweefsel, de zogenaamde fibroblasten, zich abnormaal en maken ongereguleerd littekenweefsel aan. Het is op dit moment niet bekend waarom de fibroblasten van Systemische sclerose patiënten zich anders gedragen dan de fibroblasten van gezonde personen.

Doel van het onderzoek

Middels de inzichten die we verkrijgen uit dit onderzoek hopen we nieuwe therapeutische toepassingen te kunnen ontwikkelen die specifiek ingrijpen op ontregelde processen in fibroblasten van Systemische sclerose patiënten.

Onderzoeksopzet

Met behulp van de nieuwste technieken is het mogelijk om bepaalde genen *uit te zetten* in cellen die geïsoleerd zijn van lichamelijk weefsel, om te onderzoeken hoe cellen zich gaan gedragen als een bepaald gen op non-actief wordt gezet. Wij willen deze techniek gebruiken om te onderzoeken welke genen in fibroblasten van Systemische sclerose patiënten bijdragen aan het abnormale gedrag van deze fibroblasten. Als wij deze genen gevonden hebben, willen we vervolgens kijken of het mogelijk is om het stofje dat wordt gemaakt door deze

genen weg te vangen. Als blijkt dat het wegvangen van deze stof ervoor zorgt dat de fibroblasten van Systemische sclerose patiënten zich weer normaal gaan gedragen zoals fibroblasten van gezonde personen, zou dit stofje mogelijk een nieuw doelwit kunnen zijn voor het ontwikkelen van een therapie voor Sclerodermie.

Inschatting van belasting en risico

Het risico van de bloedafname is een kleine prik tijdens het inbrengen van de naald en/of een kleine bloeditstorting na de bloedafname.

Kleine bioptgaatjes van 1-4 mm worden meestal niet gehecht, en grotere gaatjes van 4-8 mm meestal wel. Een rond gaatje in de huid geneest over het algemeen mooi en laat een natuurlijk, rond en onopvallend litteken achter.

Contactpersonen

Publiek

BioFocus

Darwinweg 24
Leiden 2333 CR
NL

Wetenschappelijk

BioFocus

Darwinweg 24
Leiden 2333 CR
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)

- Diagnose diffuse cutaneous systemic scleroderma volgens ACR, Leroy criteria of ACR/EULAR criteria.
- Duur sinds eerste non-Raynaud syndroom minder of gelijk aan 18 maanden
- Aanwezigheid auto-antibodies tegen RNA polymerase III of topoisomerase (Scl-70), antifibrillarine of PMScl.:- Bij voorkeur recentelijk de diagnose gesteld en geen of gelimiteerde effecten van immunosuppressieve therapie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Personen die niet binnen de inclusie criteria vallen.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	02-01-2014
Aantal proefpersonen:	20
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-11-2013

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

Goedgekeurd WMO

Datum: 15-06-2015

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

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	NL46199.058.13