

Vijftien jaar statine therapie gestart op de kinderleeftijd: effectiviteit, veiligheid, therapietrouw en verdraagzaamheid bij patiënten met familiäre hypercholesterolemie

Gepubliceerd: 05-10-2015 Laatste bijgewerkt: 19-04-2024

Het doel van deze studie is om de effectiviteit, veiligheid, therapietrouw en verdraagzaamheid van 15 jaar statine therapie gestart op de kinderleeftijd te evalueren bij jong volwassen FH patiënten.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON42815

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

AfterFifteen-studie

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
- Lipidenmetabolismestoornissen
- Arteriosclerose, stenose, vaatinsufficiëntie en necrose

Synoniemen aandoening

erfelijk verhoogd cholesterol, familiäre hypercholesterolemie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Anonieme geldsponsor

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Familiare hypercholesterolemie, Hart- en vaatziekten, Kinderen, Statine

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Verschil in de intima-media dikte en aspect van de halsslagader (echo, MRI) tussen FH patienten die op de kinderleeftijd zijn gestart met statines en hun niet aangedane broers en zussen na 15 jaar follow-up
- Verschil in optreden van cardiovasculaire eindpunten tussen FH patienten die op de kinderleeftijd zijn gestart met statines en hun niet aangedane broers en zussen na 15 jaar follow-up

Secundaire uitkomstmaten

Bij patienten met FH:

- Associatie tussen de leeftijd waarop gestart is met statines en het optreden van cardiovasculaire eindpunten
- Associatie tussen de leeftijd waarop is gestart met statines en de dikte en aspect van de vaatwand van de halsslagader (echo, MRI)
- Optreden van bijwerkingen (bv spier en/of lever toxiciteit)
- Mate van therapietrouw

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Familiaire hypercholesterolemie (FH) is een veel voorkomende erfelijke aandoening die zorgt voor sterk verhoogde cholesterolwaarden in het bloed vanaf de geboorte. Een hoog cholesterolgehalte versnelt het proces van aderverkalking, waardoor het risico op vroegtijdige hart- en vaatziekten aanzienlijk wordt verhoogd. Patiënten met FH worden dan ook met krachtige cholesterolverlagende medicijnen behandeld, waarvan statines de belangrijkste zijn.

De mate van aderverkalking kan met behulp van een echo worden bepaald door het meten van de wanddikte van de halsslagader. Eerder onderzoek liet zien dat kinderen met FH al een dikkere vaatwand hebben dan hun niet-aangedane broertjes en zusjes. Op basis hiervan lijkt het gerechtvaardigd om behandeling op jonge leeftijd te starten om aderverkalking te voorkomen. Over de lange termijn effecten van het op de kinderleeftijd starten met statine therapie bij patiënten met FH is tot nu toe alleen nog weinig bekend.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is om de effectiviteit, veiligheid, therapietrouw en verdraagzaamheid van 15 jaar statine therapie gestart op de kinderleeftijd te evalueren bij jong volwassen FH patiënten.

Onderzoeksopzet

Patiënten met FH en hun niet-aangedane broers en zussen worden gevraagd een éénmalig bezoek aan het AMC te brengen voor een anamnese, bloedonderzoek, lichamelijk onderzoek, een meting van de intima-media dikte van de halsslagader middels een echo, en een MRI van de halsslagaders. Voor dit bezoek zal een vragenlijst opgestuurd worden over medicatiegebruik en familie anamnese die ze alvast thuis kunnen invullen en kunnen meenemen naar het AMC. Tevens zal aan de deelnemers worden gevraagd om toestemming te geven voor het opvragen van medicatiegegevens bij hun behandelend arts.

Inschatting van belasting en risico

Deelnemers brengen een éénmalig bezoek aan het AMC van ongeveer 4 uur voor bloedafname, anamnese, lichamelijk onderzoek, een intima-media meting van de halsslagader middels echo, en een MRI van de halsslagader. Wij achten de

belasting en risico's voor de deelnemers minimaal. FH patiënten die niet volgens de huidige richtlijnen worden behandeld kunnen baat hebben bij deelname omdat zij advies kunnen krijgen over de huidige behandelrichtlijnen.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105AZ
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105AZ
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)

Patienten met FH die eerder deelnamen aan een gerandomiseerde dubbel-geblindeerde placebo-gecontroleerde study (JAMA 2004; 292(3):331-7) waarin de effectiviteit en veiligheid

van pravastatine werd geëvalueerd, en hun niet-aangedane broers of zussen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

geen

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	11-12-2015
Aantal proefpersonen:	290
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-10-2015
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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	NL53903.018.15