

Navelstrengbloed transplantatie bij hoog-risico hematologische patiënten met gekweekte navelstrengbloedstamcellen. Een haalbaarheidsstudie waarbij gekeken wordt naar het aanslaan van het transplantaat en hematologisch herstel.

Gepubliceerd: 17-08-2016 Laatste bijgewerkt: 30-01-2025

Om de haalbaarheid van een enkele UCBT te bestuderen, met een ex - vivo SR - 1 uitgebreide unit. Evalueren van bijwerkingen en transplantatie gerelateerde mortaliteit (TRM) Evalueren van engraftment and engraftment kinetiek: herstel immuunsysteem,...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Hematologische aandoeningen NEG
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON43292

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

enkele navelstrengbloed studie

Aandoening

- Hematologische aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

hoog risico hematologische maligniteit

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: engraftment, enkele navelstrengbloed transplantatie, stemregenin-1 gekweekte stamcellen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Haalbaarheid gedefinieerd als en behaald in $\geq 80\%$ of (evalueerbare) patiënten:

1. SR-1 mediated groei, met > 20 -voud groei van CD34+ cellen, en
2. effectieve hematopoïetische (neutrophils $> 0.5 \times 10^9/L$) engraftment binnen 30 dagen na transplantatie

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Onvoldoende hematopoïetische herstel na UCBT wordt voornamelijk veroorzaakt vanwege het lage aantal hematopoïetische stamcellen in UCB grafts. IN - vitro stamcel groei kan bereikt worden met SCF , Flt3L , TPO en Stemregenin - 1 (SR - 1) . Onlangs werd aangetoond dat transplantatie met een dubbele UCBT waaronder een met SR - 1 uitgebreide unit haalbaar en veilig is.

Doel van het onderzoek

Om de haalbaarheid van een enkele UCBT te bestuderen, met een ex - vivo SR - 1 uitgebreide unit.

Evalueren van bijwerkingen en transplantatie gerelateerde mortaliteit (TRM)

Evalueren van engraftment and engraftment kinetiek: herstel immuunsysteem, acute and chronische GVHD, chimerisme, toxiciteit, progressie vrije overleving and overall survival na een enkele UCBT met gekweekte stamcellen.

Onderzoeksopzet

Prospectieve fase I-II haalbaarheidsstudie. Patienten met een indicatie voor een allogene stamceltransplantatie die niet over een geschikte stamceldonor beschikken, ondergaan een enkele cord blood transplantatie met gekweekte stamcellen met reduced-intensity conditionering.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Patenten worden behandeld met een reduced-intensity conditioning regime, onafhankelijk van leeftijd, gevolgd door een enkele UCBT, met SR-1 expanded unit. Post grafting immunosuppressie bestaat uit mycophenolate mofetil (30 dagen) en cyclosporine A (90 dagen, waarna afbouwen).

Inschatting van belasting en risico

Een nadeel van deelname aan dit onderzoek is dat er mogelijk een risico is dat de transplantatie niet aanslaat. Dit risico is klein. Voor de zekerheid zullen er, voor start van dit onderzoek, autologe stamcellen verzameld worden. Mocht de transplantatie met navelstrengbloed niet aanslaan kan een autologe stamcel transplantatie gegeven worden.

Extra bloed- en beenmergafname kan een kleine extra belasting betekenen, dit wordt gecombineerd met een reguliere medisch noodzakelijke afnames. Doordat het routine beenmergonderzoek iets meer tijd in beslag kan nemen en er extra materiaal opgezogen moet worden hetgeen zeer kortdurend pijnlijk kan zijn.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
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)

- leeftijd 18-70 jaar
- diagnose hoog-risico hematologische maligniteit of ernstige aplastische anemie, die voldoen aan de criteria voor een MUD alloSCT.
- Ontbreken van geschikte MUD donor (binnen de beschikbare tijd indien de alloSCT dringend noodzakelijk is).
- Beschikbaarheid van 1 geschikte UCB grafts (met een totaal nuclear cell count $2.7 \times 10^7/\text{kg}$).
- Beschikbaarheid van een back-up autograft, geoogst en ingevroren in een eerder stadium van de behandeling.
- WHO performance status 0-2
- Schriftelijke toestemming

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Billirubine en/of transaminases $> 2.5 \times$ verhoogd.
- Creatinine klaring $< 40 \text{ ml/min}$.

- Hartfalen (zie protocol 8.1.2).
- Longfunctietest met VC, FEV1 en/of DCO <50%.
- Actieve, ongecontroleerde infectie.
- Hoge doses totale lichaamsbestraling in voorgeschiedenis.
- Zwangere vrouwen en vrouwen die borstvoeding geven
- HIV positiviteit

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
(Verwachte) startdatum:	15-09-2016
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Generieke naam:	Somatische cellen allogeen

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-08-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-10-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-05-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-06-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CCMO: Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (Den Haag)

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	EUCTR2016-002383-13-NL
CCMO	NL58715.000.16