

Respons op DDAVP in milde/matig ernstige Hemofilie A patienten, op zoek naar determinanten

Gepubliceerd: 20-02-2013 Laatste bijgewerkt: 24-04-2024

Het doel van dit project is om de associatie tussen klinische en genetische factoren en DDAVP respons bij MHA patiënten te onderzoeken en hun relatieve bijdrage aan de DDAVP respons te bepalen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON43824

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

RISE

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

bloederziekte, hemofilie A

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Access to insight research fund

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: DDAVP, Hemofilie A, Milde/matig, Respons

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire onderzoeksvariabelen zijn:

- Klinische factoren die de DDAVP respons bepalen
- Genetische factoren die de DDAVP respons bepalen

De primaire einduitkomst is de respons op DDAVP, gedefinieerd als compleet (1 uur na DDVP FVIII: C > 0.50 IE / ml), gedeeltelijk (1 uur na DDVP FVIII: C 0,30-0,50 IE / ml), of niet (1 uur na DDVP FVIII: C < 0,30 IE / ml). Ook de therapeutische respons zal bepaald worden.

Secundaire uitkomstmaten

N.v.t.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Milde/matig ernstige hemofilie A (MHA) presenteert zich doorgaans als een matige ernstige erfelijke stollingsstoornis en komt voor bij 1 op de 10 000 mannen. MHA wordt veroorzaakt door een deficiëntie van stollingsfactor VIII. Meer gepersonaliseerde, veiliger en goedkopere behandelingsstrategieën voor MHA zijn nodig. Bij de meeste patiënten met MHA stijgt FVIII: C na toediening van DDAVP, een synthetisch analoog van vasopressine. Dit vermindert de noodzaak van het gebruik van FVIII concentraten en dus de kosten van behandeling en het bijkomende risico van de ontwikkeling van remmende antistoffen. Helaas is er nog een aantal patiënten dat slechts gedeeltelijk of in het geheel niet reageert op DDAVP. Single center studies hebben aangetoond dat er een verband is tussen klinische en genetische determinanten en DDAVP respons. Echter, hun relatieve bijdrage is nog onbekend. Een beter begrip van de klinische en genetische determinanten van de DDAVP respons kan zorgen voor een betere voorspelling van de reactie op DDAVP en een

optimaal klinisch gebruik hiervan. Bovendien zal het identificeren van genetische voorspellers van de DDAVP reactie helpen om biologische mechanismen die geassocieerd zijn met de release van vWF en het stijgen van FVIII beter te begrijpen.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit project is om de associatie tussen klinische en genetische factoren en DDAVP respons bij MHA patiënten te onderzoeken en hun relatieve bijdrage aan de DDAVP respons te bepalen.

Onderzoeksopzet

De RISE studie is een internationale multicenter cohort studie die de respons van MHA patiënten op DDAVP analyseert. De studie zal alle MHA patiënten die ooit DDAVP hebben ontvangen tussen 1980 en 2013 van de deelnemende Hemofilie Treatment Centers (HTC's) includeren.

Inschatting van belasting en risico

N.v.t.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105 AZ
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105 AZ
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Milde of matig ernstige hemofilie A (factor VIII 2-40%)

Behandeld met of getest op DDAVP tussen 1980-2013 en gedocumenteerde FVIII en VWF plasma levels voor aanvang van administratie en op ten minste 1 tijdstip na toediening.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Ernstige hemofilie A (factor VIII <1%)

von Willebrand factor moet bekend zijn om von Willebrand ziekte uit te kunnen sluiten

Andere stollingsstoornissen (met name von Willebrand ziekte)

Type 2N von Willebrand ziekte, of zeer waarschijnlijk dat patient deze ziekte heeft omdat er vrouwelijk patienten zijn in de familie met bloedingssymptomen

De eerste DDAVP test is niet afgenomen in huidig hemofilie behandelcentrum

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	20-02-2013
Aantal proefpersonen:	281
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-02-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-04-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-09-2013
Soort:	Amendement
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

CCMO

ID

NL42418.018.12