

De effectiviteit van octreotide in patiënten met erfelijke hemorrhagische telangiectasiën met symptomatische gastrointestinale bloedingen, de SAIPAN trial: een multicenter, gerandomiseerde, open-label, parallelgroep, superioriteits trial.

Gepubliceerd: 01-05-2019 Laatste bijgewerkt: 21-12-2024

Onderzoek naar de effectiviteit van octreotide in patiënten met hereditaire hemorrhagische telangiectasiën met daarbij gastrointestinale bloedingen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Maagdarmstelselvaataandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON46190

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

SAIPAN

Aandoening

- Maagdarmstelselvaataandoeningen

Synoniemen aandoening

Erfelijke hemorrhagische teleangiectasiën, Rendu-Osler-Weber syndroom.

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: ZonMW

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: hereditaire hemorragische teleangiëctasiën (HHT), Octreotide, Rendu-Osler-Weber syndroom., Sandostatine

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

'Succesvolle respons' gedefinieerd als een afname van ten minste 50% in

toegediende intraveneuze ijzer- en/of bloedtransfusies.

Secundaire uitkomstmaten

Het percentuele of gemiddelde/mediane verschil tussen het half jaar voor de inclusie en de behandelperiode van een half jaar na de inclusie tussen de behandel arm en de observationele arm in:

- intraveneuze ijzer- en bloedsuppletie
- PROM's: kwaliteit van leven (SF-36, EQ-5D), mate van vermoeidheid (MFI-20), ernst van epistaxis (ESS tool) en patiënt tevredenheid.
- Hb en ferritine waarden
- aantal endoscopische behandelingen
- kosten effectiviteit
- veiligheid

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte hereditary hemorrhagic telangiectasia (HHT) is een erfelijke aandoening die voorkomt bij 1 op de 5000-8000 mensen. Door het gendefect ontstaan er directe verbindingen tussen aders en slagaders met als gevolg dat er sneller bloedingen ontstaan. Het meest voorkomende symptoom is een bloedneus. Deze abnormale bloedvaten kunnen echter in allerlei organen ontstaan, zoals de longen, hersenen, lever, maagdarmsstelsel en huid. Ongeveer 15% van de HHT-patiënten krijgt in de loop van zijn leven last van maagdarmbloedingen. Deze zijn met de reguliere behandeling van het endoscopisch dichtbranden van deze vaatjes niet goed te behandelen, omdat de afwijkingen zeer uitgesproken zijn en snel terugkeren na behandeling. Het resultaat is dat deze mensen vaak ijzerinfusen en/of bloedtransfusies nodig hebben tegen de bloedarmoede.

Het medicijn Octreotide heeft veel beloofde resultaten laten zien bij mensen met een gelijksoortige aandoening (angiodysplasie). Het bijwerkingen profiel is gunstiger dan dat van de meeste medicijnen. De effectiviteit van het medicijn octreotide willen wij onderzoeken in een studie waarbij de helft van de patiënten het middel krijgt en de andere helft niet. Patiënten moeten 4 keer naar het ziekenhuis komen tijdens het onderzoek. Hierbij wordt dan gekeken naar mogelijke bijwerkingen en wordt het bloedgehalte bepaald. Tevens worden er vragenlijsten afgenomen om de kwaliteit van leven te bepalen. We registreren dan een half jaar hoe vaak patiënten bloedtransfusies nodig hebben en in het ziekenhuis worden opgenomen. Uiteindelijk vergelijken we de 2 groepen om te kijken of het medicijn effectief is geweest. Om er zeker van te zijn dat er voldoende patiënten aan de studie deelnemen zullen we samenwerken met ziekenhuizen in Nederland en het buitenland.

Doel van het onderzoek

Onderzoek naar de effectiviteit van octreotide in patiënten met hereditaire hemorrhagische telangiectasieën met daarbij gastrointestinale bloedingen.

Onderzoeksopzet

Internationale multicenter open-label Randomised Controlled Trial met een parallelle observationele controlegroep. (Fase 3)

Onderzoeksproduct en/of interventie

De interventie is 2 keer daags zelftoediening van subcutane injecties met 0.1 mg kortwerkend Octreotide gedurende 26 weken.

Inschatting van belasting en risico

De patient zal zichzelf 2 keer daags een subcutane injectie met Octreotide

geven. De risico's bestaan uit de bekende bijwerkingen van subcutane Octreotide toediening.
Verder moet de patiënt 4 keer naar het ziekenhuis komen voor een controlebezoek met bloedafname.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6500 HB
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6500 HB
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 ouder dan 18 jaar met geschreven informed consent

- Diagnose van HHT: bevestigd door genetische tests danwel de Curacao criteria (zekere/definitieve diagnose)
- Aanwezigheid van IDA in combinatie met endoscopisch bewezen aanwezige gastro-intestinale AVM manifestaties / teleangiectasieën bevestigd in de afgelopen 12 maanden (upper and/or lower endoscopy and/or capsule endoscopy)
- endoscopisch refractair: ten minste 1 endoscopische APC/laser/andere endoscopische behandeling uitgevoerd in de afgelopen 5 jaar.
- Substantiële transfusie afhankelijkheid: ten minste 4 eenheden bloed en/of intraveneus ijzer in de 6 maanden voorafgaand aan inclusie met:
 - o Ten minste één keer serum ferritine $<30\mu\text{g/l}$ in de afgelopen 6 maanden met ijzerbehoefte van ten minste 1 g en/of
 - o Hemoglobine $<5.6\text{mmol/l}$ (9.0 g/gl) of transfusiebehoefte door aan anemie gerelateerde symptomen binnen de laatste 6 maanden met bovenstaande bloedtransfusie behoefte.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Lever cirrose CHild-Pugh C
- symptomatische cholecystolithiasis (mogelijke bijwerking van octreotide).
- zwangerschap, bortsvoeding of een zwangerschapwens binnen de studieperiode.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd

Doel: Preventie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	20-12-2019
Aantal proefpersonen:	18
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Sandostatine
Generieke naam:	Octreotide
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	01-05-2019
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-06-2019
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-10-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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

EudraCT

CCMO

Ander register

ID

EUCTR2018-004179-11-NL

NL68092.091.18

NTR nummer volgt