

MyCyFAPP Onderdeel 3: Ontwikkeling van een voorspellend model voor enzymtherapie

Gepubliceerd: 12-07-2016 Laatste bijgewerkt: 19-03-2025

Het betreft een aanpak in 2 stappen. Het belangrijkste doel is het opstellen van een mathematisch voorspellend model waarmee de optimale dosis PERT kan worden berekend voor elke maaltijd of voedingsproduct aangepast aan de persoonlijke...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON46193

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MyCyFAPP model enzym therapie

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Exocriene pancreasaandoeningen

Synoniemen aandoening

Cystic Fibrose, taaislijmziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Kindergeneeskunde

Overige ondersteuning: Europese Unie;Horizon 2020

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: CF, Enzymen, Therapie, Voorspelling

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaat is het verschil in hoeveelheid vet in de ontlasting na toepassing van de ICF ten opzichte van de maximaal normaal toegstaande hoeveelheid vet (6g/24u).

Secundaire uitkomstmaten

NVT

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Bij kinderen met cystic fibrose kan ondervoeding optreden secundair aan de ziekte door gebrek aan eetlust en verminderde opname en vertering van voedingstoffen. Dit heeft een negatief effect op het ziektebeloop. Het behouden van een goede voedingstoestand is van groot belang bij de behandeling van kinderen met CF want het heeft direct effect op de kwaliteit van leven, longfunctie en overleving. Patiënten met pancreasinsufficiëntie hebben exogene pancreasenzymsuppletie nodig (PERT) met als doel om het verlies van vet, eiwit en galzuren via de ontlasting te beperken en het optreden van tekorten aan vetoplosbare vitamines te voorkomen. Het is erg belangrijk dat de juiste dosering van exogene pancreasenzymsuppletie aangepast aan de maaltijd en de patiënt is erg belangrijk,

Doel van het onderzoek

Het betreft een aanpak in 2 stappen. Het belangrijkste doel is het opstellen van een mathematisch voorspellend model waarmee de optimale dosis PERT kan worden berekend voor elke maaltijd of voedingsproduct aangepast aan de persoonlijke karakteristieken van de patiënt. Per patiënt wordt een zogenaamde individuele correctiefactor (ICF) bepaald.

De tweede stap is om het model te valideren door middel van het bepalen van de vetabsorptie na toepassing van de ICF, door een vergelijking van de hoeveelheid vetverlies in de ontlasting in vergelijking met de normaal waarde (< 6 gram

vet/24 uur).

Het mathematisch voorspellend model wordt uiteindelijk ingebouwd in de app samen met de PERT dosis voor verschillende voedingsproducten en maaltijden. Hierdoor zal het mogelijk zijn om de PERT dosis voor een specifieke maaltijd te bepalen rekening houdend met de individuele factor van de patient. Dit kan de zelf management van patiënten vergroten.

Onderzoeksopzet

Het betreft een prospectieve multicenter interventie studie bij kinderen met cystic fibrose die behandeld worden in 5 CF centra van de Europese Unie: Valencia (Spanje; Hospital Universitari i Politècnic La Fe), Madrid (Spanje; Hospital Universitario Ramón y Cajal), Rotterdam (Nederland; Erasmus MC Rotterdam), Leuven (Belgie; University Hospitals Gasthuisberg) and Milaan (Italie; Ospedale Maggiore Policlinico).

De studie bestaat uit 3 delen

Deel A:

- Volgen van een vastgesteld testmenu volgen met vastgestelde enzymdosering.
- Sparen van ontlasting wat gemarkeerd wordt door inname van kleurcapsules.
- Bijhouden van een voedingsdagboek

Uit de resultaten van deel A is gebleken dat het volgen van een test menu en het sparen van de ontlasting tijdens 1 weekend voldoende is, aangezien er geen verschil is gevonden tussen de twee weekenden (bij compliante patiënten).

Tijdens deel B zouden patiënten initieel het proces herhalen met een andere dosering van de studie medicatie, gebaseerd op de hoeveelheid vet in de ontlasting na het volgen van het vaste menu (individuele dosis). Door een lage compliantie graad met het test menu van de meeste deelnemers konden we echter geen individuele factor berekenen. Daarom is er nu overeengekomen om deel B opnieuw met de theoretische dosering uit te voeren met een aantal wijzigingen:

- * Aantrekkelijkere maaltijden
- * Wash out voor en na inname van de kleur capsules
- * Alle ontlasting zal in verschillende zakjes verzameld worden ipv in 1 container

Met deze wijzigingen verwachten we de compliance te verhogen. Na deel B hopen we het model te kunnen ontwikkelen voor deel C.

Deel C

In deel C zullen patiënten een semi vrij menu volgen en houden ze een voedsel dagboek bij gedurende 1 weekend. Semi vrij betekent dat de patiënt een lijst krijg met producten waaruit gekozen kan worden. Van deze producten is de theoretische dosis bekend. De PERT dosering correspondeert met de berekende persoonlijke dosis. Er wordt weer ontlasting verzameld.

Als de individuele dosis niet berekend kan worden aan het eind van deel B zal

het model versimpeld worden en alleen het theoretische model gebruikt worden voor de optimale dosering.

Deze 3 delen zullen plaatsvinden over een periode van 9 maanden.

Onderzoeksproduct en/of interventie

De interventies bestaan uit het volgen van een vastgesteld testmenu (bij deel B) en een semi vrij menu (bij deel C), het innemen van de spijsverteringsenzymen (eigen capsules, voorgeschreven dosis), het sparen van gemarkeerde ontlasting corresponderend met het testmenu en het bijhouden van een voedingsdagboek.

Inschatting van belasting en risico

De belasting voor de deelnemende patiënten bestaat uit het volgen van een testmenu (1 x 1 weekend voor deel B) en semi vrij menu (1 weekend (voor deel C) wat afgestemd is op de leeftijd en voedingsbehoeften van het kind en het sparen van ontlasting na inname van kleurcapsules om de ontlasting corresponderend met het testmenu te markeren. (kan tot 2 dgn na volgen van menu zijn dat de laatste gekleurde ontlasting wordt geproduceerd)

Deelname aan dit onderzoek kan meer inzicht geven in het huidige gebruik van voeding en spijsverteringsenzymen. De specifiek op het kind toegepaste hoeveelheid spijsverteringsenzymen kan leiden tot minder klachten van buikpijn, flatulentie en diarree en op de langere termijn tot een betere groei en voedingstoestand en verbetering van de kwaliteit van leven. Nadeel van deelname aan dit onderzoek is dat het tijd kost om een vast menu te volgen, voedingslijsten in te vullen en ontlasting te sparen. Er wordt gebruik gemaakt van de eigen gangbare capsules met spijsverteringsenzymen, waarvan alleen de dosis anders kan zijn dan de patient gewend is.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Bewezen Cystic Fibrose volgens standard criteria
2. informed consent van ouders/vertegenwoordigers; assent van kinderen 12 jaar en ouder
3. Bestaande pancreasinsufficiëntie (faeces elastase < 200 mcg/g) en gebruik van pancreasenzymen
4. Leeftijd * 12 maanden en < 18 jaar ten tijde van de screenings visite
5. Stabiele klinische toestand gedurende tenminste 2 weken voor het tekenen van informed consent
6. bereidheid en mogelijkheid om zich te houden aan het vastgestelde menu en het sparen van ontlasting in het weekend.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Exclusiecriteria:

1. Acute infectie geassocieerd met verminderde eetlust of koorts bij het eerste studie bezoek
2. Acute buikpijn waarvoor medische interventie noodzakelijk ten tijde van het eerste

studiebezoek

3. Ernstige cholestase

4. FEV1 <40% voor leeftijd, geslacht, gewicht en lengte.

5. Ernstige hypoalbuminemie (albumine in bloed <25 g/L).

6. Opname in ziekenhuis of iv antibiotica <2 weken voor het tekenen van het informed consent formulier

7. Veranderingen in de gebruikelijke behandeling (prokinetica, protonpompremmers, H2 blockers en antibiotica) <2 weken voor het tekenen van het informed consent formulier.

8. Aanwezigheid van veranderingen in de klinische toestand die volgens de onderzoeker de veiligheid van de patient in gevaar zou kunnen brengen.

9. Overgevoeligheid of bijwerkingen m.b.t. de spijsverteringsenzymen (PERT).

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving nog niet gestart

(Verwachte) startdatum: 13-03-2016

Aantal proefpersonen: 12

Type: Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-07-2016

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 24-03-2017

Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

ID: 24050

Bron: NTR

Titel:

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL55266.078.16
OMON	NL-OMON24050