

I-chec - Identificatie van kinderen met erfelijke stollingsstoornissen

Gepubliceerd: 03-11-2016 Laatst bijgewerkt: 15-05-2024

Het doel van dit onderzoek is het evalueren van de diagnostische kwaliteiten van een aangepaste/verbeterde bloedingsscore vragenlijst in een groep kinderen die zich presenteren met bloedingssymptomen bij wie mogelijk sprake is van een erfelijke...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON47172

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

I-chec

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
- Bloed- en lymfestelselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

Erfelijke bloedstollingsafwijking, stollingsstoornis

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Academisch Medisch Centrum; Novo Nordisk: acces to insight clinical research (unrestricted research grant), Novo Nordisk

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Bloedingsscore, Erfelijke bloedstollingsafwijking, Kinderen, Vragenlijst

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaat is:

De diagnostische kwaliteit van de aangepaste / verbeterde bloedingsvragenlijst.

Dit zal gemeten worden door de 'area under the curve' te berekenen van de

Receiver Operating Curve voor zowel de bestaande en de aangepaste / verbeterde bloedingsvragenlijst, en deze uitkomsten met elkaar te vergelijken.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire uitkomst maten zijn:

De invloed van leeftijd, geslacht en type bloedingsstoornis op de totale

bloedingsscore en op de individuele bloedingsitems score. Om de associatie

tussen bovengenoemde items te modelleren zal een lineair regressie model

gebruikt worden (multivariabel).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Kinderen hebben vaak blauwe plekken (hematomen). Regelmatig zijn deze zo talrijk of treden er andere bloedingssymptomen op dat de ouders zich met een verzoek om nadere analyse tot de kinderarts wenden. Het is belangrijk dat deze kinderen accuraat gediagnosticeerd worden, zodat zij op correcte wijze begeleid en behandeld kunnen worden.

Bij kinderen die vaak en veel hematomen hebben kan er sprake zijn van een erfelijke stollingsstoornis. De diagnose van een erfelijke stollingsstoornis wordt vastgesteld op basis van anamnese en laboratorium onderzoek. Bij kinderen is het lastig om een goede, betrouwbare anamnese af te nemen over bloedingssymptomen. Dit komt onder andere doordat de symptomen vaak subtiel

zijn en door het feit dat het stollingssysteem van kinderen nog niet zo vaak op de proef gesteld is als bij volwassenen, bijvoorbeeld omdat er nog geen operaties of kiesextracties hebben plaatsgevonden.

In de afgelopen jaren zijn er gestandaardiseerde vragenlijsten ontwikkeld voor de anamnese van bloedingssymptomen. De meest gebruikte vragenlijst bij kinderen (de ISTH-BAT) berekent de kans op een stollingsstoornis door middel van een score, a *bleeding score* (BS), die gebaseerd is op het uitvragen en scoren van de ernst van verschillende bloedingssymptomen. Hoewel deze BS vragenlijst veel gebruikt wordt in de kliniek is er een grote behoefte aan en ruimte voor verbetering van deze 'screening tool'. Zo is het op dit moment niet bekend in hoeverre alle bloedings items die in de huidige vragenlijst opgenomen zijn ook daadwerkelijk bijdragen aan het onderscheiden van kinderen mét en zonder erfelijke stollingsstoornis. Ook houdt het huidige scoringssysteem geen rekening met (subtiële) veranderingen in het bloedingspatroon van een individu - zo kan er bijvoorbeeld een minder ernstig bloedingspatroon ontstaan in de loop van de tijd - omdat de score voorsnog uitsluitend gebaseerd is op de meest ernstige presentatie van een bloedingssymptoom in de medische historie van een individu, dus: *ooit*. Dat gegeven zorgt ervoor dat de huidige vragenlijst een effect van score verzadiging kent (probleem bij evaluatie van ernstige bloeders) en inflexibel zijn ten aanzien van veranderingen in het bloedingspatroon (probleem bij evaluatie van minder ernstige bloeders). Om de diagnostische nauwkeurigheid van de ISTH-BAT te verbeteren - heeft een kind een erfelijke stollingsstoornis of niet? - is het essentieel om het onderscheidend vermogen van de afzonderlijke bloedings items te onderzoeken.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is het evalueren van de diagnostische kwaliteiten van een aangepaste/verbeterde bloedingsscore vragenlijst in een groep kinderen die zich presenteren met bloedingssymptomen bij wie mogelijk sprake is van een erfelijke stollingsstoornis.

Onderzoeksopzet

Dit is een prospectief cohort onderzoek. Het onderzoek zal plaatsvinden in een groep van 200 kinderen die zich presenteren met bloedingssymptomen bij wie er mogelijk sprake is van een erfelijke stollingsstoornis. Er zullen 5 centra mee doen aan deze studie (in Nederland, Canada en Engeland).

Inschatting van belasting en risico

De risico's voor deelname worden als verwaarloosbaar ingeschat. Aangezien dit een niet-therapeutische studie is zullen deelnemende patiënten geen direct voordeel van deelname hebben. De belasting is vergelijkbaar met de huidige situatie: ook nu vullen kinderen en/of ouders een vragenlijst in over de bloedingssymptomen en wordt er bloed afgenomen voor diagnostische doeleinden.

Alleen de extra bloed afname van 5 ml (alleen indien toestemming van kinderen die deelnemen in één van de Nederlandse centra) is anders dan normaal. Voor deze afname zal geen extra venapunctie verricht worden (dus alleen indien er na de reguliere afname nog voldoende mogelijkheid is om het extra bloed af te nemen zal dit gebeuren, anders niet).

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)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen

(Inclusiecriteria)

1. Leeftijd 0-18 jaar
2. Presentatie met (1) anamnese van bloedingssymptomen, en/of (2) afwijkende lab uitslagen van het bloed, en/of (3) aanwezigheid van een bewezen bloedstollingsstoornis in de familie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Patiënten bij wie reeds de aanwezigheid van een erfelijke bloedstollingsstoornis is vastgesteld
2. Patiënten met een bekende (verworven) oorzaak van de bloedingsneiging (bijvoorbeeld een nier- of leveraandoening, het gebruik van medicatie waarvan bekend is dat die kan zorgen voor een verhoogde kans op bloeding)

Onderzoekopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 31-05-2017

Aantal proefpersonen: 50

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-11-2016

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-09-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-10-2018
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

ID: 21443

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL56790.018.16
OMON	NL-OMON21443