

Desmopressine en FVIII-concentraat combinatiebehandeling in niet-ernstige hemofilie A-patiënten die een kleine ingreep ondergaan

Gepubliceerd: 19-12-2016 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

De consumptie van FVIII-concentraat rondom kleine ingrepen bij niet-ernstige hemofilie A-patiënten te verminderen zonder de behandeling minder werkzaam te maken.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON47789

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Little DAVID

Aandoening

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

Synoniemen aandoening

Hemofilie A; bloedingsstoornis

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, Innovatiefonds Zorgverzekeraars

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Desmopressine, Farmacokinetisch modelleren, Hemofilie A, Kleine ingrepen

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De gemiddelde afwijking in FVIII tot de voorspelde FVIII-waarden voorafgaand aan de kleine ingreep en de consumptie van FVIII-concentraat rondom de kleine ingreep.

Secundaire uitkomstmaten

Aantal en aard van bloedingen gedurende de eerste 14 dagen na de ingreep

Andere adverse events in de eerste 14 dagen na de ingreep

Het gedeelte van de patiënten wat een FVIII-waarde heeft binnen de streefwaarden, na de ingreep

Ervaren kwaliteit van zorg

Discrepanties in FVIII-waarden gemeten met de one-stage en de chromogene assay

Remmerontwikkeling 4-6 weken na de ingreep

Behandelmkosten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Hemofilie A is een zeldzame, erfelijke bloedingsstoornis, veroorzaakt door een factor VIII-deficiëntie (FVIII). Rondom kleine ingrepen kunnen niet-ernstige hemofilie A-patiënten (FVIII minstens 0.01 IE/mL) behandeld worden met FVIII-concentraat óf desmopressine. Beide behandelopties zijn niet ideaal. Bij FVIII-concentraat is het moeilijk de juiste dosering te geven en veel patiënten krijgen te veel of juist te weinig om hun streefwaarden voor FVIII te bereiken.

Daarnaast verhoogt het geven van hoge doseringen FVIII-concentraat het risico op remmers tegen FVIII, welke de behandeling onwerkzaam maken. Desmopressine maakt FVIII vrij uit de vaatwand van de patiënt. Bij de meeste hemofilie A-patiënten wordt het FVIII echter niet hoog genoeg om een ingreep te ondergaan. Een oplossing zou zijn om beide behandelingen met elkaar te combineren, zeker aangezien de hoeveelheid duur FVIII-concentraat hiermee zou kunnen worden verminderd. Om dit mogelijk te maken zou farmacokinetisch gestuurd doseren een goede optie zijn. Deze methode maakt geïndividualiseerde dosering van FVIII-concentraat mogelijk.

Doel van het onderzoek

De consumptie van FVIII-concentraat rondom kleine ingrepen bij niet-ernstige hemofilie A-patiënten te verminderen zonder de behandeling minder werkzaam te maken.

Onderzoeksopzet

Een gerandomiseerde, gecontroleerde trial

Onderzoeksproduct en/of interventie

standaardarm: standaardbehandeling met FVIII-concentraat monotherapie interventiearm: combinatiebehandeling met FVIII-concentraat en desmopressine

Inschatting van belasting en risico

Deze studie wil de combinatiebehandeling van desmopressine en FVIII-concentraat in niet-ernstige hemofilie A-patiënten evalueren rondom kleine ingrepen. Gedurende de behandeling zullen de FVIII-waarden gemonitord worden. Door voorafgaand aan de ingreep bij iedere patiënt een desmopressinetest te verrichten, wordt werkzaamheid van desmopressine gegarandeerd. Tijdens de studie zal de standaarddosering van desmopressine gebruikt worden.

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

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- niet-ernstige hemofilie A (FVIII * 0,01 IE/mL)
- Kleine ingreep benodigd
- Leeftijd tussen de 12 en 70 jaar
- Perioperatief FVIII-concentraat benodigd, met een maximum behandelduur van 48 uur
- Een stijging in het FVIII van minstens 0,2 IE/mL na desmopressine
- mannelijk geslacht
- informed consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- andere hemostatische afwijking
- Klinisch relevante FVIII remmer aantoonbaar (>0,5 BU) preoperatief, tenzij succesvol behandeld met immunotolerantiebehandeling

- FVIII-concentraat benodigd voor langer dan 48 uur
- Contraindicaties voor desmopressine
- Gebruik van comedicaatie die een interactie heeft met desmopressine
- Intolerantie van eerdere toedieningen van desmopressine

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	27-01-2018
Aantal proefpersonen:	75
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Minrin
Generieke naam:	Desmopressine
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-12-2016

Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	13-03-2017
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	01-07-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO Datum:	05-07-2019
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: 26618

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register	ID
Ander register	6036
EudraCT	EUCTR2016-001875-57-NL
CCMO	NL57682.078.16
OMON	NL-OMON26618