

Het effect van behandeling met Gladskin bij patienten met Netherton syndroom

Gepubliceerd: 03-12-2018 Laatste bijgewerkt: 10-04-2024

Deze studie heeft als doel het effect van Gladskin te evalueren bij patienten met NS. Er wordt gekeken naar het voorkomen van huidsymptomen gerapporteerd door de patiënt. Secundair wordt gekeken naar het effect van Gladskin op het voorkomen van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Bacteriële infectieziekten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON48716

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Het effect van behandeling met Gladskin bij patienten met NS

Aandoening

- Bacteriële infectieziekten
- Huid- en onderhuidswaefsel-aandoeningen NEG

Synoniemen aandoening

ichtyosis, Netherton syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Microcos Human Health B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Netherton syndroom (NS), Staphefekt, Staphylococcus (S.) aureus

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Algemene beoordeling van de huid op een schaal van 0 tot 10: Patient Global assessment (PGA)

Secundaire uitkomstmaten

Ziekte ernst gerapporteerd door de patient .Hierbij wordt gebruik gemaakt van:

- a) Pruritus Numerical Rating Scale (Pruritus NRS)
- b) Pain Numerical Rating Scale (Pain NRS)
- c) Desquamation Numerical Rating Scale (Desquamation NRS)
- d) Erythema Numerical Rating Scale (Erythema NRS)
- e) Sleep Numerical Rating Scale (Sleep NRS)

Ziekte ernst gerapporteerd door de onderzoeker.Hierbij wordt gebruik gemaakt van:

- a) Visual index for Ichthyosis severity (VIIS)
- b) Huidinfectie, gedefinieerd als het gebruik van topicale -of systemische antibiotica

Kwaliteit van leven

- a) Skindex-29

Effect van Gladskin op het microbioom van de huid, in het bijzonder

Staphylococcus aureus.

a) verandering in relatieve hoeveelheid bacterien middels DNA sequencing

Veiligheid van gebruik Gladskin

a) adverse device effect en serious adverse device events

b) bloedtesten: infectie parameters (leukocytes), nierfunctie (creatinine, eGFR), levertesten (ASAT, ALAT).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Staphylococcus aureus is een commensaal en tevens pathogeen organisme. De bacterie lijkt een rol te spelen in de multifactoriele pathogenese van NS. Gedacht wordt dat het van invloed is op de huidsymptomen en dat door de verstoorde huidbarriere in NS patienten er een verhoogd risico is op het ontwikkelen van recidiverende bacteriële infecties. *S. aureus* infectie in NS patienten wordt vaak behandeld met antibiotica, wat leidt tot een toegenomen resistentie. Daarnaast lopen patiënten risico op het ontwikkelen van bijwerkingen van de antibiotica. Gladskin is een product voor lokaal gebruik, wat zorgt voor lysis van de celwand van *S. aureus* met daaropvolgend celdood. In vitro resultaten tonen dat Staphfekst alleen de *S. aureus* doodt en de commensale flora intact laat. Gezien de grootte van het eiwit Staphfekst (>50kDa), is het onwaarschijnlijk dat het de huid passeert. Het insmeren van de huid met Staphfekst zou voor een daling van *S. aureus* op de huid kunnen zorgen en symptomen van *S. aureus* gerelateerde huidziekten, zoals NS, kunnen verminderen.

Doel van het onderzoek

Deze studie heeft als doel het effect van Gladskin te evalueren bij patienten met NS. Er wordt gekeken naar het voorkomen van huidsymptomen gerapporteerd door de patiënt. Secundair wordt gekeken naar het effect van Gladskin op het voorkomen van huidsymptomen gerapporteerd door de onderzoeker, kwaliteit van leven, bijwerkingen en het microbioom van de huid (inclusief *S. aureus*).

Onderzoeksopzet

Een beschrijvende interventie studie. Alle patienten worden 8 weken lang behandeld met Gladskin.

Onderzoeksproduct en/of interventie

- Run in fase van 2 weken waarin we het medicatiegebruik van patienten kunnen objectiveren middels een patientdagboek (week 1-2). - Interventiefase van 8 weken met Gladskin (week 3-10). - Follow up fase van 2 weken waarin we het medicatiegebruik en huidsymptomen objectiveren middels een patientendagboek (week 11-12) - 3 visits. Visit 1 (is een huisbezoek indien patient dit wenst). Visit 2 en 3 vinden plaats op de onderzoekslocatie. - Visit 1: patient wordt gevraagd enkele vragenlijsten in te vullen. De huid wordt nagekeken door de onderzoeker en hiervan wordt een foto gemaakt. Er worden huid- en neusswabs afgenomen. - Visit 2 en 3: patient wordt gevraagd enkele vragenlijsten in te vullen. De huid wordt nagekeken door de onderzoeker en hiervan wordt een foto gemaakt. Er worden huid- en neusswabs afgenomen en er wordt een venapunctie verricht. - Gedurende het gehele onderzoek worden wekelijks enkele korte vragenlijsten in gevuld: medicatiegebruik en scores (NRS) voor algemene beoordeling van huidsymptomen, jeuk, pijn, slaap, roodheid en huidschilfering.

Inschatting van belasting en risico

Tijdens de studie vinden 3 bezoeken binnen een tijd van 10 weken plaats. Visit 1 vindt plaats bij de patient thuis (indien de patient dit prefereert) en visit 2 en 3 op de onderzoekslocatie van het Erasmus MC. Deze zullen allen maximaal 60 minuten duren.

Tijdens de visits vinden onderstaande plaats:

- Patiënten vullen enkele vragenlijsten in
- Nakijken van de huid door de onderzoeker
- Foto's van de huid
- Afname huidswab,neusswab en huidscrub
- Venapunctie (visit 2 en 3)

Gedurende het gehele onderzoek worden wekelijks enkele korte vragenlijsten in gevuld:

- Medicatiegebruik
- Patient Global Assessment (PGA)
- Pruritus Numerical Rating Scale (Pruritus NRS)
- Pain Numerical Rating Scale (Pain NRS)
- Desquamation Numerical Rating Scale (Desquamation NRS)
- Erythema Numerical Rating Scale (Erythema NRS)
- Sleep Numerical Rating Scale (Sleep NRS)

Risico: het risico van gebruik van Gladskin is laag. Het Staphylokok eiwit is te groot om te penetreren door de intacte huid. In dierproeven worden geen bijwerkingen gezien van andere lysine (Staphylokok eiwit is niet getest). Gezien het defect in de huidbarriere bij NS patienten, kan niet geheel worden uitgesloten

dat het eiwit door de huid passeert. Om deze redding worden er een aantal extra maatregelen getroffen:

- Patienten kunnen 7 dagen per week, 24 uur per dag telefonisch contact met ons opnemen
- Het gebruik van Gladskin zal worden opgebouwd. Patienten smeren de eerste week slechts 1 arm in, vervolgens 2 armen, benen en gehele lichaam.
- Tijdens visit 2 en 3 wordt bloed afgenomen voor veiligheidscontrole (leukocyten, nierfunctie, leverchemie)

Daarnaast kan een allergische reactie optreden door een component van de swabvloeistof.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr.Molewaterplein 40
Rotterdam 3015 GD
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr.Molewaterplein 40
Rotterdam 3015 GD
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)

- leeftijd 18 jaar of ouder
- Diagnose Netherton syndroom
- Mogelijkheid tot lezen van patienten informatie en het geven van informed consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- gebruik van systemische corticosteroiden in de 4 weken voorafgaand aan deelname van de studie
- gebruik van topicale antibiotica 7 dagen voorafgaand aan deelname van de studie
- gebruik van Gladskin 7 dagen voorafgaand aan deelname van de studie

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 06-02-2019

Aantal proefpersonen: 11

Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Generieke naam: Gladskin

Registratie: Geregistreerd voor gebruik zoals toegepast in onderzoek

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-12-2018

Soort: Eerste indiening

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

Goedgekeurd WMO

Datum: 28-08-2019

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

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL63546.078.18