

Het beïnvloeden van longziekte in patiënten met antistoftekort

Gepubliceerd: 11-01-2021 Laatste bijgewerkt: 08-04-2024

Doel: De beschermende waarde aantonen en de kosteneffectiviteit meten van hogere Ig-dosering bij progressie van longziekte in PAD.

Ethische beoordeling	Afgewezen
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Immunodeficiëntiesyndromen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON49108

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

IPAD onderzoek

Aandoening

- Immunodeficiëntiesyndromen

Synoniemen aandoening

afweerziekten, Antistofdeficienties

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: ZonMW, CSL Behring, Takeda

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: dosering., Immuundeficientie, immuunglobulines, longziekten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Belangrijkste onderzoeksparameters / eindpunten: 1. Progressie van longziekte, bepaald door computertomografie (CT) -scanning en longfunctietest

Secundaire uitkomstmaten

2. Aantal luchtweginfecties 3. Gemiste dagen van school / werk. 4.

Kostenbesparing 5. Levenskwaliteit.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Rationale: Patiënten met primaire antilichaamdeficiënties (PAD's) lopen vaak chronische longschade op, veroorzaakt door recidiverende luchtwegaandoeningen en / of interstitiële longziekte. Chronische longschade leidt tot afwezigheid op het werk en op school en tot aanzienlijke gezondheidskosten. Patiënten met PAD worden behandeld met immunoglobuline-substitutietherapie. Optimale dosering om longziekte te voorkomen is onduidelijk en verschillende doseringsschema's, allemaal binnen het voorgeschreven label, worden landelijk gebruikt. Wij en anderen hebben onlangs aangetoond dat hogere dalspiegels van immunoglobuline (Ig) verband hielden met minder luchtweginfecties en een tragere progressie van luchtwegaandoeningen. Deze bevindingen moeten worden bevestigd in een prospectieve gerandomiseerde setting.

Doel van het onderzoek

Doel: De beschermende waarde aantonen en de kosteneffectiviteit meten van hogere Ig-dosering bij progressie van longziekte in PAD.

Onderzoekopzet

Onderzoekopzet: Multicenter, prospectieve gerandomiseerde gecontroleerde studie, uitgevoerd door 3 academische centra in Nederland.

Interventie (indien van toepassing): twee Ig-doseringsschema's (beide in normaal bereik) worden vergeleken: Controlegroep: Ig-dosis 0,4-0,6 g / kg / l, versus interventiegroep: dosisverhoging van 33% (in vergelijking met dosis voorafgaand aan onderzoek) wordt gedurende 2 jaar toegediend. CT-scan en

longfunctietests worden uitgevoerd op $t = 0$ en 24 maanden.

Inschatting van belasting en risico

Aard en omvang van de last en risico's die samenhangen met participatie, voordeel en groepsgerelateerdheid: de studie vergelijkt twee bestaande profylaxe-regimes voor longschade bij patiënten met primaire antilichaamziekte. Toediening van medicatie en meting van dalconcentraties van medicatie volgen routinematige medische richtlijnen voor behandeling en follow up. De extra procedures waaraan patiënten in dit protocol worden onderworpen, zijn als volgt: twee CT-scans van de longen en twee longfunctietests ($t = 0$ en 24 maanden; 30 minuten per procedure). Verder zullen tijdens routine venapunctie momenten 5 extra bloedmonsters worden genomen, en worden 2 extra venapuncties verricht buiten de routinemonsters. Tot slot, driemaal het invullen van een vragenlijst over kwaliteit van leven en productiviteits-verlies (in totaal 30 minuten per keer). De omvang van deze extra procedures wordt geacht een lage impact te hebben. Kinderen zullen deelnemen aan de studie. Het onderzoek moet ook bij pediatrie patiënten worden uitgevoerd, omdat kinderen een bijzonder hoog risico lopen op longziekte.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6 Lundlaan 6
Utrecht 3584 EA
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6 Lundlaan 6
Utrecht 3584 EA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Leeftijd 4-60 jaar
- Diagnose van primaire antilichaamdeficiëntie / CVID (zie appendix A).
- Indicatie voor immunoglobulinevervangende therapie en / of behandeld met immunoglobulinevervangende therapie
- Huidige IgG-dosering 0,4 - 0,6 gr / kg / 3-4 weken
- Onder behandeling voor PAD bij één van de artsen in de deelnemende centra
- Geschreven geïnformeerde toestemming
- Normale longstatus of milde tot matig ernstige longziekte (gemeten door longfunctietest en op CT-scan, gescoord door een onafhankelijke radioloog op basis van de volgende criteria):
 - * AD-score bij baseline <5 en ILD-score <7, of;
 - * AD-score bij aanvang > 5 en / of ILD-score > 7 zonder klinische diagnose van ernstige respiratoire insufficiëntie (gedefinieerd als: verzadiging in de lucht <92% en / of zuurstofafhankelijkheid).
 - * Basislijn longfunctie (FEV1 en FVC > 70% verwacht voor leeftijd en lichaamsgewicht / lengte)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Een potentiële proefpersoon die aan een van de volgende criteria voldoet, wordt uitgesloten van deelname aan dit onderzoek:

- Leeftijd ouder dan 60 jaar
- Diagnose van gecombineerde immunodeficiëntie (CID) bij aanvang van de studie (zie aanhangsel A). Uitleg: Gecombineerde immunodeficiëntie wordt gekenmerkt door het optreden van meer virale infecties en reactivaties en dus minder

vergelijkbaar met PAD.

-Ernstige longziekte, vastgesteld door een onafhankelijke radioloog:

* AD-score bij baseline > 5 en / of ILD-score > 7, in combinatie met:

o Sacculaire bronchiëctasie op CT-scan, of;

o Klinische diagnose van ernstige respiratoire insufficiëntie (gedefinieerd als: (gedefinieerd als: verzadiging in de lucht <92% en / of zuurstofafhankelijkheid).

* Basislijn longfunctie (FEV1 en FVC > 70% verwacht voor leeftijd en lichaamsgewicht / lengte)

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Onderzoeksmodel: Parallel

Toewijzing: Gerandomiseerd

Blinding: Open / niet geblindeerd

Doel: Preventie

Deelname

Nederland

Status: Zal niet starten

Aantal proefpersonen: 100

Type: Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Afgewezen

Datum: 28-01-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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	NL74793.041.20