

Farmacokinetiek en farmacodynamiek van corticosteroiden in pediatrische patienten met auto-immuun- en inflammatoire ziekten.

Gepubliceerd: 02-12-2021 Laatste bijgewerkt: 10-01-2025

Het vaststellen van de PK / PD-relatie van prednisolon met betrekking tot toxiciteit als klinische uitkomst bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Auto-immuunziekten
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON51250

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

CARPE DIEM-studie

Aandoening

- Auto-immuunziekten

Synoniemen aandoening

afweersysteem aandoeningen, Auto-immuunziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, NVLE fonds

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Auto-immuunziektes, Farmacodynamiek, Farmacokinetiek, Populatie PK/PD

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het primaire doel van deze studie is het vaststellen van de associatie tussen de blootstelling (PK) en de prednisolon toxiciteit (PD) bij pediatrische patiënten met auto-immuun of inflammatoire ziekten.

Secundaire uitkomstmaten

De secundaire doelstellingen van deze studie zijn:

- vaststellen van informatie over het voorkomen en de mate van toxiciteit bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen
- Het identificeren van determinanten en de bijbehorende variabiliteit voor de ontwikkeling van een populatie-PK-model

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De prevalentie en incidentie van auto-immuun- en inflammatoire ziekten zijn de afgelopen jaren behoorlijk toegenomen. Een van de grootste zorgen bij pediatrische patiënten blijft de hoge prevalentie van toxiciteit als gevolg van de langdurige behandeling met systemische corticosteroïden. De standaardbehandeling van auto-immuun- en inflammatoire ziekten bij pediatrische patiënten zijn hoge doses systemische corticosteroïden, zoals prednisolon. Hoewel prednisolon zeer effectief is bij de behandeling van auto-immuun- en inflammatoire ziekten, is het optreden en de ernst van bijwerkingen alsnog aanzienlijk. Toxiciteit is vaak ernstig, maar zeer variabel tussen patiënten en uit zich in psychiatrische en metabole bijwerkingen zoals depressie, persoonlijkheids- en gedragsveranderingen, slaapstoornissen, overmatige gewichtstoename, hypertensie, diabetes mellitus, groeiachterstand en cushingoïde symptomen. Het verband tussen farmacokinetiek (PK) van prednisolon en (mate van) toxiciteit is echter nog niet onderzocht bij kinderen. Het

Universitair Medisch Centrum (UMC) Utrecht beschikt over de unieke Liquid Chromatography-Mass Spectrometry (LC-MS) techniek waarmee de PK zeer nauwkeurig gemeten kan worden. Onze hypothese is dat nauwkeurige dosering van prednisolon, met optimale blootstelling bij elke individuele patiënt, de bijwerkingen bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten en auto-inflammatoire aandoeningen zal verminderen. Daarom willen we de PK onderzoeken in relatie tot de toxiciteit (farmacodynamiek (PD)) van prednisolon bij kinderen met auto-immuunziekten en auto-inflammatoire aandoeningen.

Doel van het onderzoek

Het vaststellen van de PK / PD-relatie van prednisolon met betrekking tot toxiciteit als klinische uitkomst bij pediatrische patiënten met auto-immuunziekten of auto-inflammatoire aandoeningen.

Onderzoeksopzet

Dit is een prospectieve, observationele studie.

Inschatting van belasting en risico

De gegevens die in deze studie zullen worden verkregen, zullen worden gebruikt om de populatie PK en de PD van prednisolon vast te stellen bij kinderen met auto-immuun- of inflammatoire ziekten. De belasting zal minimaal zijn aangezien er voor de PK 4 bloedmonsters (aanvullend op de standaardzorg) van 2 ml worden afgenomen (beperkte bloedafname strategie). Het bloedvolume dat voor het onderzoek wordt afgenomen, overschrijdt het aanbevolen maximum niet. De toegepaste bloedafname strategie is minimaal invasief, aangezien alle geïnccludeerde patiënten aanwezig zijn tijdens een routinematig polikliniekbezoek en een perifere canule zullen krijgen voor routinematige bloedafname en PK-bloedafnames, waardoor er geen extra bloedpuncties zijn. Patiënten zullen worden gevraagd om maximaal 4-5 uur te blijven voor de PK-bloedafnames en om een vragenlijst in te vullen over de mentale bijwerkingen.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584CX

NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100

Utrecht 3584CX

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. Patiënten met een auto-immuunziekte of auto-inflammatoire aandoening waaronder IBD die in het WKZ worden behandeld;
2. Zowel nieuw gediagnosticeerd patiënten als patiënten met persisterende of recidiverende auto-immuun- of inflammatoire ziekten met een indicatie voor systemisch prednisolon;
3. Gepland om met systemisch prednisolon te worden behandelen tot een volgend gepland poliklinisch bezoek tussen de 2e en 6e week;
4. Informed consent form (ICF) ondertekend voorafgaand aan het onderzoek.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Geen. Echter, indien de hoofdonderzoeker besluit dat er sprake is van een ziekte of omstandigheid die in negatieve zin invloed heeft op deelname door de

patient, zal deze worden geexcludeerd.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 24-03-2022

Aantal proefpersonen: 50

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-12-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-04-2024

Soort: Amendement

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

ID: 24592

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register	ID
Ander register	https://onderzoekmetmensen.nl/nl/trial/51250
CCMO	NL76235.041.21