

Prospectieve klinische studie om de werkzaamheid van acetazolamide te evalueren voor de behandeling van cystoïd macula-oedeem bij erfelijke retinale dystrofieën: de CAR studie

Gepubliceerd: 31-05-2022 Laatste bijgewerkt: 16-11-2024

Het primaire doel van dit onderzoek is om de werkzaamheid van acetazolamide te evalueren voor de behandeling van cystoïde macula-oedeem bij erfelijke retinale dystrofieën in afwachting van toekomstige klinische onderzoeken.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Netvlies-, vaatvlies- en glasvochtbloedingen en vaataandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON51635

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

De CAR studie voor erfelijke retinale dystrofieën

Aandoening

- Netvlies-, vaatvlies- en glasvochtbloedingen en vaataandoeningen

Synoniemen aandoening

erfelijke netvlies ziekten, Erfelijke retinale dystrofieën

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Amsterdam UMC

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Acetazolamide, Cystoid Macula-oedeem, Erfelijke retinale dystrofieën

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het belangrijkste eindpunt is het bepalen van de effectieve dosering, het resultaat van de behandeling en het effect op de gezichtsscherpte. Als zodanig zullen deze bevindingen een onmiddellijke impact hebben op de wetenschappelijke vooruitgang door de toepassing van geavanceerde multidisciplinaire technologie om de identificatie en selectie van patiënten voor nieuwe behandelingen te vergemakkelijken.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire onderzoekvariabelen omvatten de volgende, vergeleken binnen de behandelde groep met de controlegroep:

- 1) De optimale dosis acetazolamide bepalen voor een maximaal effect op CME en minimale bijwerkingen
- 2) De intra- en interindividuele variabiliteit en bijwerkingen bepalen
- 3) Om het percentage IRD-patiënten met CME te bepalen waarbij behandeling met acetazolamide CME volledig kan oplossen voor een spectrum van verschillende IRD-geassocieerde genen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Erfelijke retinale dystrofieën (IRD's) omvatten een spectrum van ernstige oogziekten, gekenmerkt door progressief verlies van de visuele functie. Naast duidelijk verlies van gezichtsvermogen, kunnen IRD's gecompliceerd worden door cystoïd macula-oedeem (CMO) in de macula (het midden van het netvlies, dat verantwoordelijk is voor gedetailleerd zicht, kleur- en contrastzicht). Van de aanwezigheid van CME is gemeld dat het een mogelijk negatief effect heeft op het centrale zicht en ziekteprogressie. Bovendien komen IRD-patiënten met CME niet in aanmerking voor opkomende innovatieve behandelingen zoals gentherapie. Daarom is het van het grootste belang om te proberen CME effectief te behandelen met bestaande mogelijke behandelingsopties, niet alleen om het risico op verlies van het gezichtsvermogen te verminderen, maar ook om de kansen voor patiënten om in aanmerking te komen voor toekomstige (gen)therapie te vergroten.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van dit onderzoek is om de werkzaamheid van acetazolamide te evalueren voor de behandeling van cystoïde macula-oedeem bij erfelijke retinale dystrofieën in afwachting van toekomstige klinische onderzoeken.

Onderzoeksopzet

Het voorgestelde onderzoek is investigator-initiated, monocenter, prospectieve, experimenteel onderzoek, bestaande uit zeven bezoeken op 2, 4, , 12, 16 en 32 weken na het baseline-evaluatiebezoek. Tijdens elk bezoek zullen de deelnemers verschillende oogheelkundige metingen uitvoeren.

Onderzoeksproduct en/of interventie

De gebruikte interventie in deze studie is acetazolamide, die behoort tot een klasse van geneesmiddelen die bekend staat als koolzuuranhydraseremmers en is gebruikt in combinatie met andere medicijnen voor de behandeling van hoge druk in het oog als gevolg van bepaalde soorten glaucoom.

Inschatting van belasting en risico

Acetazolamide zal worden gebruikt gedurende deze studie en er is een mogelijk risico op soms (zeldzame) tot zeer zeldzame bijwerkingen zoals vermeld in de Samenvatting van de product kenmerken. Ook kunnen deelnemers (vooral jonge kinderen en ouderen) een minimale fysieke belasting ervaren van zeven keer in 32 weken naar het ziekenhuis te gaan. Bovendien kunnen patiënten zich

geconfronteerd voelen met hun visuele beperkingen.

Contactpersonen

Publiek

Amsterdam UMC

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105 AZ
NL

Wetenschappelijk

Amsterdam UMC

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)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

In aanmerking komende patiënten hebben een klinische diagnose van IRD en ondergingen ten minste één klinisch onderzoek, in combinatie met een van de

volgende voorwaarden:

- IRD geassocieerd met causale genetische variant(en) (in bijv. USH2A-, CRB1-, RHO-, RP1-, RP2- RPGR-, PRPF31- of RS1-gen)
- CME met betrekking tot de fovea bevestigd op spectraaldomein optische coherentietomografie (OCT)

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:

- Ogen worden uitgesloten wanneer de visuele disfunctie ook significant geassocieerd is met andere oogziekten dan de IRD's (bijv. glaucoom, perforerend trauma).
- Patiënten behandeld met lisdiuretica
- Ernstige leverfunctiestoornis
- Ernstige nierinsufficiëntie
- Natrium- en kaliumdepletie
- De ziekte van Addison
- Hyperchloremische acidose
- Cor pulmonale
- Chronisch niet-congestief geslotenhoekglaucoom
- Het gebruik van Acetazolamide
- Het gebruik van interacterende medicatie:
 - o Foliumzuurantagonisten: methotrexaat, trimethoprim en pyrimethamine
 - o Hypoglykemieën
 - o Orale anticoagulantia
 - o Aspirin
 - o Hartglycosiden: digoxine
 - o diuretica, zoals thiaziden en lisdiuretica:
 - o anticonvulsiva zoals: fenytoïne, primidon en carbamazepine
 - o Koolzuuranhydraseremmers
 - o Procaïne
 - o Natriumwaterstofcarbonaat
 - o Cyclosporine
 - o Efedrine, methadon, amfetamine, kinidine en lithium

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:

2

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	20-01-2023
Aantal proefpersonen:	18
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Acetazolamide
Generieke naam:	DIAMOX
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-05-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-09-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-12-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	MEC Academisch Medisch Centrum (Amsterdam)
	Kamer G4-214

Postbus 22660

1100 DD Amsterdam

020 566 7389

mecamc@amsterdamumc.nl

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
EudraCT	EUCTR2002-000237-17-NL
CCMO	NL80249.018.22