

Het beïnvloeden van progressie van luchtweg ziekte in primaire antistof stoornissen

Gepubliceerd: 08-12-2021 Laatste bijgewerkt: 14-09-2024

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-513124-41-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens. De beschermende waarde aantonen en de kosteneffectiviteit meten van hogere Ig-dosering bij progressie van longziekte inPAD.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Immunodeficiëntiesyndromen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON51878

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

IPAD Studie

Aandoening

- Immunodeficiëntiesyndromen
- Infecties - pathogeen niet-gespecificeerd

Synoniemen aandoening

afweerstoornis, PAD

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: ZonMW, CSL Behring, Takeda

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: immuunglobuline, luchtweg aandoeningen, primaire antistof stoornis

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Verschil in gemiddelde AD- en ILD-scores (zoals gemeten middels CT) tussen $t=0$ en $t=2$ jaar bij patiënten met standaard vs. hogere dosering van Ig-substitutietherapie.

Secundaire uitkomstmaten

1. De incidentie van symptomatische lagere luchtweginfecties bij PAD-patiënten met een hoge dosering van Ig-substitutietherapie versus standaard dosering van Ig-substitutietherapie.
2. Aantal door artsen gediagnosticeerde lagere luchtweginfecties bij patiënten met een hoge dosering versus standaard Ig-substitutietherapie.
3. Aantal ziekenhuisopnames en duur van ziekenhuisopnames voor pulmonale complicaties (oa exacerbaties van bronchiëctasie)
4. Resultaten van longfunctietesten (specifiek: totale longcapaciteit (TLC), geforceerd expiratoir volume na 1 seconde (FEV1), CO-diffusie) op $t=0$ en $t=2$ jaar bij alle patiënten
5. Dagen gemist van werk/school bij patiënten met een hoge vs. standaard dosering van Ig-substitutietherapie.
6. Totale therapeutische en preventieve kosten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

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-substitutie therapie. 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

Deze studie is overgegaan naar CTIS onder nummer 2024-513124-41-00 raadpleeg het CTIS register voor de actuele gegevens.

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

Onderzoeksopzet

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

Onderzoeksproduct en/of interventie

Twee Ig-doseringsschema's (beide in het normale bereik) worden vergeleken: Controlegroep: Ig-dosis 0,4-0,6 g/kg/l, vs. interventiegroep: dosisverhoging van 33% (ten opzichte van pre-studiedosis) zal gedurende 2 jaar worden toegediend . CT-scans en longfunctietesten worden uitgevoerd op t=0 en 24 maanden.

Inschatting van belasting en risico

De studie vergelijkt twee bestaande profylaxeregimes voor longziekte bij patiënten met primaire antilichaamziekte. Het toedienen van medicatie en het meten van dalspiegels van medicatie volgt de 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 longfunctietesten (t=0 en 24 maanden; 30 minuten per procedure). Verder worden

er tijdens de routine venapunctie momenten 5 extra bloedstalen genomen en 2 extra venapuncties naast de routine stalen. Tot slot wordt er gevraagd driemaal een vragenlijst over kwaliteit van leven en productiviteitsverlies in te vullen (30 minuten per keer in totaal). De omvang van deze extra procedures wordt geacht weinig impact te hebben. Kinderen zullen deel uitmaken van het onderzoek. Het onderzoek moet ook bij pediatrische patiënten worden uitgevoerd, omdat vooral kinderen een hoog risico lopen op longaandoeningen.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
Utrecht 3508AB
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
Utrecht 3508AB
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)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Leeftijd 8-60 jaar
2. Diagnose van Primaire Antistof Stoornis/ Common Variable Immunodeficiency Disorder (Appendix 1)
3. Indicatie voor immunoglobuline suppletie therapie
4. Huidige IgG dosering 0.25 - 0.6 gr/kg/3-4 weken
5. Ontvangt behandeling en is in follow-up voor PAD bij een van dokters in de participerende centra
6. Informed consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Diagnose van gecombineerde immuundeficientie (appendix A)
2. Ernstig long lijden, vastgesteld door een onafhankelijke radioloog:
 - a. Baseline AD >7 en/of ILD score >5 gecombineerd met
 - i. Sacculaire bronchiectasieën op CT of
 - ii. Klinische diagnose van ernstige respiratoire insufficiency (saturaties <92% bij kamerlucht en/of zuurstofafhankelijkheid)
 - b. Baseline longfunctie (FEV1 en FVC) <70% van de verwachte waarde voor leeftijd en lichaamsgewicht)
3. Actief roker

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland

Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	25-08-2022
Aantal proefpersonen:	100
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Normaal immunoglobuline (im en sc)
Generieke naam:	Normaal immunoglobuline (im en sc)
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Normaal immunoglobuline (iv)
Generieke naam:	Normaal immunoglobuline (iv)
Registratie:	Geregistreerd voor de te bestuderen indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-12-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-12-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-07-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-01-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec

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
CTIS	CTIS2024-513124-41-00
EudraCT	EUCTR2021-005001-26-NL
CCMO	NL79088.041.21