

Lange-termijn functionaliteit van hematopoëse in pediatrische stamceltransplantatie survivors

Gepubliceerd: 10-09-2021 Laatste bijgewerkt: 17-01-2025

Het doel van deze studie is om te bepalen hoe de bloedaanmaak op de lange-termijn functioneert in hematopoëtische stamceltransplantatie survivors.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Niet-hemolytische anemieën en beenmergdepressie
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON54142

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Lange-termijn hematopoëse in transplantatie survivors (Long-term HIT)

Aandoening

- Niet-hemolytische anemieën en beenmergdepressie
- Immunstoornissen NEG

Synoniemen aandoening

Hematopoietische stamceltransplantatie; beenmergtransplantatie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, Stichting KIKa

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cytopenie, Follow-up, Hematologische dysfunctie, Hematopoëtische stamceltransplantatie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste uitkomstmaat is het percentage van lange-termijn stamceltransplantatie survivors met klonale hematopoëse. Door klinische parameters van survivors met en zonder CH te vergelijken, gaan we op zoek naar factoren die het ontstaan van CH beïnvloeden..

Secundaire uitkomstmaten

Daarnaast zullen we het percentage van lange-termijn stamceltransplantatie survivors met de volgende andere vormen van hematopoëtische dysfunctie bepalen:

(1) cytopenie; (2) verlies van donor chimerisme; (3) beenmergfalen; (4) myelodysplasie; en (5) donor-cel leukemie.

Tot slot worden moleculaire onderzoeken uitgevoerd om de functionaliteit van hematopoëse na transplantatie te analyseren.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Hematopoietische stamceltransplantatie (HSCT) is een potentieel levensreddende behandeling voor patiënten met verschillende ziektes, waaronder ernstige afweerstoornissen, stofwisselingsziektes en leukemie. Door verbeteringen in de behandeling neemt het aantal survivors na transplantatie en hun levensverwachting toe. Bij kinderen die getransplanteerd zijn moeten de donorcellen in totaal soms langer leven dan een normale levensduur. Het is nog niet bekend of getransplanteerde stamcellen levenslang een gezonde bloedaanmaak in stand kunnen houden. In dit project veronderstellen we dat transplantatie schadelijk is voor de levensduur van donor stamcellen, wat op den duur een

verhoogd risico geeft voor hematologische ziekte in te ontvanger.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is om te bepalen hoe de bloedaanmaak op de lange-termijn functioneert in hematopoëtische stamceltransplantatie survivors.

Onderzoeksopzet

Dit is een observationele, exploratieve studie, ingebed in de HSCT follow-up poliklinieken van het Prinses Máxima Centrum en UMC Utrecht. Het studiebezoek wordt gecombineerd met een poliklinische controle, als deel van de standaard follow-up na transplantatie. Alle deelnemers worden klinisch beoordeeld door een getrainde gezondheidszorgprofessional, als deel van de normale zorg. De klinische data wordt gecombineerd met data van een eenmalige bloedafname en wangslijmvlies afname om de functionaliteit van de stamcellen te beoordelen.

Inschatting van belasting en risico

Voor dit onderzoek zijn minderjarige en jongvolwassen proefpersonen nodig, aangezien hun transplantatie protocollen op meerdere vlakken anders zijn dan protocollen voor volwassenen. Resultaten uit onderzoek met volwassenen kunnen dus niet zomaar geëxtrapoleerd worden naar kinderen. Daarnaast is de overleving van kinderen en jongvolwassenen die een HSCT ontvangen vele malen langer dan die van volwassen HSCT-ontvangers. Dit stelt unieke eisen aan de levensduur van de getransplanteerde stamcellen, welke in dit onderzoek worden bestudeerd. De belasting voor de deelnemers betreft een éénmalige afname van maximaal 50 mL bloed. Deze afname zal plaatsvinden in het Prinses Máxima Centrum of UMC Utrecht en wordt gecombineerd met de bloedafname voor reguliere zorg. Daarnaast voeren we een niet-invasieve verzameling van wangslijmvlies uit. Het risico van deze bloedafname is verwaarloosbaar.

Wij verwachten dat het voorgestelde onderzoek unieke inzichten zal geven in de biologie van humane hematopoietische stamcellen, en in de impact van transplantatie op de integriteit van deze cellen. Deze inzichten zullen in de toekomst mogelijk bijdragen aan betere stamceltransplantatie protocollen en meer gerichte follow-up van risico-groepen. Daarnaast kan kennis over hematopoietische stamcellen leiden tot beter begrip en behandeling van bloedziekten in bredere zin.

Contactpersonen

Publiek

Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Heidelberglaan 25
UTRECHT 3584CS
NL

Wetenschappelijk

Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Heidelberglaan 25
UTRECHT 3584CS
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)

Ontvanger van een allogene hematopoietische stamceltransplantatie (HSCT),
leeftijd bij transplantatie <40 jr
Minimaal 5 jaar overleving na HSCT.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Onvoldoende begrip van de patiënteninformatie en informed consent door de HSCT ontvanger, donor en/of hun ouders/wettelijk vertegenwoordigers (hetzij door intellectuele beperkingen of door taalbarrière)

Ontvangers van een *NiCord* HSCT. NiCord is een klinische studie naar de veiligheid en werkzaamheid van transplantatie met ex vivo vermenigvuldigde navelstrengbloed HSCs. Omdat de uitkomstmaten van onze studie overlappen met die van deze trial, worden NiCord ontvangers geëxcludeerd.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 12-01-2022

Aantal proefpersonen: 375

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 10-09-2021

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 01-04-2022

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum:	11-05-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-06-2024
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: 20624

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register	ID
Ander register	Netherlands Trial Register NL9587
CCMO	NL77721.041.21