

Verandering in het respiratoire en intestinale microbiologische en biochemische milieu na de start van nieuwe generatie CFTR gerichte therapie in patiënten met taaislijmziekte

Gepubliceerd: 28-08-2019 Laatst bijgewerkt: 10-04-2024

We willen de veranderingen in de samenstelling en de functie van het respiratoire en intestinale microbiom evalueren na de start van gerichte CFTR-therapie. Ten tweede willen we de verandering relateren aan klinische veranderingen (bijvoorbeeld...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Bronchiale aandoeningen (excl. neoplasmata)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON54939

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Triple therapie en microbiom studie

Aandoening

- Bronchiale aandoeningen (excl. neoplasmata)

Synoniemen aandoening

Taaislijmziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Longfonds

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: CFTR, Drievoudige therapie, Microbioom, Taaislijmziekte

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Er zijn vier bezoeken per patiënt gepland als onderdeel van de standaardzorg.

Materiaal wordt tijdens deze bezoeken verkregen. Longfunctie, microbiële culturen van sputum en bloedafname zullen worden uitgevoerd als onderdeel van routinematige zorg. Een orale spoeling, nasale spoeling, monsters van uitgeademde lucht, ontlasting en dried blood spots middels een vingerprik worden verkregen als aanvullende procedure. Functionele metagenomica en metabolica-analyse zullen worden uitgevoerd op sputummonsters, orale en nasale spoelingen en faecesmonsters. Het primaire eindpunt is de verandering in bacteriële diversiteit na de start van Elexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor

Secundaire uitkomstmaten

NVT

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De longen van patiënten met CF worden gekenmerkt door (1) verstoorde mucusklaring, (2) zuur milieu, (3) verhoogd aantal neutrofielen en (4) verhoogde bacteriële belastingen. Nieuwe therapieën richten zich op de CF-transmembraan conductance regulator (CFTR) en verhogen hun activiteit. Er is aangetoond dat een nieuwe drievoudige CFTR-gerichte therapie een belangrijk

effect heeft op de longfunctie, mucociliaire klaring en vermindering van de zout-zweet-test. Er is echter heel weinig bekend over de invloed van de gerichte CFTR-therapieën op het respiratoire microbiom. Een van de grootste uitdagingen bij CF is om de kolonisatie van de luchtwegen te beperken door goed aangepaste microben zoals *Pseudomonas* en *Achromobacter* en een gezonde luchtwegenflora te behouden.

Doel van het onderzoek

We willen de veranderingen in de samenstelling en de functie van het respiratoire en intestinale microbiom evalueren na de start van gerichte CFTR-therapie. Ten tweede willen we de verandering relateren aan klinische veranderingen (bijvoorbeeld longfunctie). Ten derde relateren we de veranderingen van het respiratoire en intestinale microbiom. Ten vierde zullen we de verschillen in het respiratoire microbiom / metaboolom vóór medicatie tussen patiënten onderzoeken die klinisch reageren en niet op de behandeling reageren. Tot slot zullen we een dried blood spot (DBS) methode klinisch valideren.

Onderzoeksopzet

Longitudinale observationele cohortstudie.

Inschatting van belasting en risico

Alle beoordelingen worden zoveel mogelijk in combinatie met routinematige bezoeken aan de polikliniek uitgevoerd. De belangrijkste toevoeging is de bemonstering van uitgeademde lucht, faeces en dried blood spots, allemaal niet-invasieve procedures. De patiënt heeft geen voordeel bij deelname aan het onderzoek. We streven naar een verbeterde behandeling van bacteriële disbalans in de luchtwegen van alle patiënten met CF en in dat opzicht kunnen de resultaten van de studie de behandeling in de toekomst verbeteren voor de patiënten die aan de studie deelnemen of voor patiënten met vergelijkbare kenmerken.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105AZ

NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1105AZ
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Start met Elexa-/Teza-/Ivacafter therapie op basis van mededogend beleid

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

none

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 30-10-2019

Aantal proefpersonen: 20

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 28-08-2019

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 07-10-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-03-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-07-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

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	NL70667.018.19