

# Evaluatie van de kosten effectiviteit van het stoppen van groeihormoonbehandeling na de mid-puberteit in adolescenten met idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficientie

Gepubliceerd: 26-10-2016 Laatste bijgewerkt: 05-10-2024

Het doel van dit onderzoek is te evalueren of het staken van de groeihormoonbehandeling in de mid-puberteit bij adolescenten met idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficientie en een normale groeihormoonaanmaak bij het hertesten in de mid-...

|                             |                                        |
|-----------------------------|----------------------------------------|
| <b>Ethische beoordeling</b> | Goedgekeurd WMO                        |
| <b>Status</b>               | Werving gestart                        |
| <b>Type aandoening</b>      | Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen |
| <b>Onderzoekstype</b>       | Interventie onderzoek                  |

## Samenvatting

### ID

NL-OMON55366

### Bron

ToetsingOnline

### Verkorte titel

Staken van groeihormoonbehandeling in mid-puberteit.

### Aandoening

- Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen

### Synoniemen aandoening

Groeihormoontekort

### Betreft onderzoek met

Mensen

## Ondersteuning

**Primaire sponsor:** Erasmus MC

**Overige ondersteuning:** ZonMw

## Onderzoeksproduct en/of interventie

**Trefwoord:** Groeihormoon, Kosten effectiviteit, Puberteit, Staken

## Uitkomstmaten

### Primaire uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaat is eindlengte min target height SDS.

### Secundaire uitkomstmaten

Eindlengte SDS, groeispuurt (cm) en tevredenheid met bereikte eindlengte

## Toelichting onderzoek

### Achtergrond van het onderzoek

Kinderen bij wie de diagnose idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficiëntie is gesteld op de kinderleeftijd worden hertest als ze de eindlengte hebben behaald. Bij deze hertest blijken de meeste adolescenten een normale groeihormoonsecretie te hebben. Het is aannemelijk dat bij een normale groeihormoonaanmaak in de mid-puberteit doorgaan met groeihormoonbehandeling een minimaal effect op de eindlengte zal hebben. Onze hypothese is dat het stoppen van groeihormoonbehandeling in de mid-puberteit geen negatief effect heeft op de eindlengte en op de tevredenheid van de patient met zijn/haar eindlengte.

### Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is te evalueren of het staken van de groeihormoonbehandeling in de mid-puberteit bij adolescenten met idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficiëntie en een normale groeihormoonaanmaak bij het hertesten in de mid-puberteit even effectief is als het continueren van groeihormoonbehandeling tot eindlengte.

### Onderzoeksopzet

Prospectieve patient preferentie opzet met een additionele controlegroep

vervolgen tot eindlengte. Alle kinderen met idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficientie zullen worden hertest in de mid-puberteit volgens de huidige richtlijn. Als de groeihormoonsecretie normaal is, zal de patient gevraagd worden of zij de groeihormoonbehandeling willen continueren tot bijna eindlengte (huidige richtlijn) of willen stoppen met groeihormoonbehandeling. Wij verwachten dat 50 % zal kiezen voor stoppen van de behandeling en 50 % de behandeling wil continueren. De groepen zullen verschillen in basis karakteristieken (degenen die kiezen om te stoppen zullen langer en ouder zijn). Aangezien het aantal te includeren patienten te laag zal zijn (en de verschillen tussen de groepen te groot) om een statistisch significant "non-inferioriteit" van discontinueren van GH behandeling in de mid-puberteit aan te tonen, zal er een retrospectieve analyse van groei, puberteit en botleeftijd plaatsvinden in een (geanonimiseerde) historische controle groep van adolescenten met idiopathische geïsoleerde GH deficientie. De patienten met een normale GH test na staken van de groeihormoonbehandeling bij eindlengte zullen worden geïnccludeerd in de controlegroep. Gebaseerd op deze data zal er een model gemaakt worden van verwachte groei bij groeihormoonbehandeling als functie van geslacht, leeftijd, botleeftijd, Tanner stadium, GH piek bij eerste test, GH piek bij hertest en GH dosis. Voor beide prospectief te volgen groepen zal de verwachte groei bij inclusie worden berekend, gebaseerd op het model. Aan het einde van de observatie periode zal de effectief behaalde groei in beide groepen vergeleken worden met de voorspelde groei. Onze hypothese is dat het verschil in bereikte lengte min de voorspelde lengte in beide groepen niet significant verschillend zal zijn van 0, en dat het 95% betrouwbaarheidsinterval een verschil van  $>0,5$  SD ten nadele van de groep die is gestopt met de GH behandeling in de mid-puberteit zal uitsluiten.

## **Onderzoeksproduct en/of interventie**

De interventie bestaat uit het staken van groeihormoonbehandeling in de mid-puberteit bij adolescenten die als kind onvoldoende groeihormoon aanmaakten en bij hertesten in de mid-puberteit voldoende groeihormoon blijken aan te maken.

## **Inschatting van belasting en risico**

Belasting en risico zijn minimaal. Geschat wordt dat 50% van de deelnemers voordeel heeft door 2-3 jaar eerder te stoppen met dagelijkse injecties, minder bloedafnames en minder ziekenhuisbezoeken. Een theoretisch, maar zeer laag risico in de groep die stopt met GH behandeling in de mid puberteit zou kunnen zijn dat ze een iets kleinere eindlengte bereiken. Naast de genoemde voordelen in de groep die eerder stopt met GH behandeling is er ook een aanzienlijk voordeel voor het gezondheidszorg budget. De gemiddelde dosis groeihormoon bij een GH deficiente adolescent is 1,6 mg/dag. De kosten van 1 mg zijn 25 euro. GH behandeling kost 14.600 euro per jaar per adolescent. Overige kosten van GH behandeling worden geschat op 365 euro per jaar per adolescent. Als onze studie laat zien dat GH behandeling 2 jaar eerder gestopt kan worden met het bereiken

van dezelfde eindlengte en tevredenheid met eindlengte zal dit een substantiele reductie van de kosten (2.394.400 euro). Deze studie kan alleen worden verricht in deze patiënten groep.

## Contactpersonen

### Publiek

Erasmus MC

De Boelelaan 1117  
Amsterdam 1081 HV  
NL

### Wetenschappelijk

Erasmus MC

De Boelelaan 1117  
Amsterdam 1081 HV  
NL

## Locaties

### Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

## Deelname eisen

### Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

### Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

adolescenten die met GH worden behandeld met partiële idiopathische GH  
deficiëntie

GH piek bij diagnose > 5 mU/l en < 30 mU/l  
mid-puberteit (jongens: Tanner G3 of G4, testesvolume > 12 ml en botleeftijd 13-16 jaar, meisjes Tanner M3 of M4 en botleeftijd 11-14 jaar)  
GH piek bij hertesten in de mid-puberteit > 20 mU/l  
GH behandeling tijdens de laatste 3 jaar  
Informed consent

## **Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)**

Medische of psychologische aandoening of medicatie anders dan GH, die de groei potentieel zou kunnen beïnvloeden

## **Onderzoeksopzet**

### **Opzet**

|                  |                         |
|------------------|-------------------------|
| Type:            | Interventie onderzoek   |
| Onderzoeksmodel: | Anders                  |
| Toewijzing:      | Niet-gerandomiseerd     |
| Blinding:        | Open / niet geblindeerd |
| Controle:        | Geneesmiddel            |
| Doel:            | Behandeling / therapie  |

### **Deelname**

|                         |                       |
|-------------------------|-----------------------|
| Nederland               |                       |
| Status:                 | Werving gestart       |
| (Verwachte) startdatum: | 19-04-2017            |
| Aantal proefpersonen:   | 128                   |
| Type:                   | Werkelijke startdatum |

## **Ethische beoordeling**

|                 |            |
|-----------------|------------|
| Goedgekeurd WMO |            |
| Datum:          | 26-10-2016 |

|                     |                    |
|---------------------|--------------------|
| Soort:              | Eerste indiening   |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 04-07-2017         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 26-09-2017         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 08-02-2019         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 07-01-2020         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 12-04-2021         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 13-01-2022         |
| Soort:              | Amendement         |
| Toetsingscommissie: | METC Amsterdam UMC |
| Goedgekeurd WMO     |                    |
| Datum:              | 27-02-2023         |
| 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**

| <b>Register</b> | <b>ID</b>      |
|-----------------|----------------|
| CCMO            | NL57916.029.16 |