

UCAN CAN-DU: Canada-Nederland *medicatie op maat netwerk* bij kinderen met chronische gewrichtsontsteking

Gepubliceerd: 06-03-2019 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Deze niet-interventionele, observationele cohortstudie heeft tot doel de beoordeling van ziekteactiviteit bij alle JIA-patiënten te standaardiseren en dit te correleren met systematisch verkregen klinische, omgevings- en laboratoriumgerelateerde...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Auto-immuunziekten
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON55655

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

UCAN CAN-DU

Aandoening

- Auto-immuunziekten

Synoniemen aandoening

jeugdreuma, juveniele idiopathische artritis

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: ZonMW; in samenwerking met Reuma Nederland

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: biologicals, jeugdreuma, JIA

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Dit is een niet-interventionele, observationele cohortstudie, waarin we ernaar streven de beoordeling van de ziekteactiviteit bij alle JIA-patiënten te standaardiseren bij baseline-bezoek, T = 6 maanden en T = 12 maanden na start van de ziekte, start van de biologicals en stoppen van biologicals.

Secundaire uitkomstmaten

- Een systeem ontwikkelen dat kinderen met jeugdreuma categoriseert op basis van hun biologie en klinische gegevens.
- Een voorspellend hulpmiddel (biomarker) ontwikkelen voor de respons van de behandeling op de 1e (of volgende) biologische
- Een voorspellend hulpmiddel (biomarker) ontwikkelen voor het succesvol stoppen van de biologische therapie.
- Bepalen van ziekteactiviteit op T = 2 en T = 5 jaar na diagnose
- Bepaling van de behandelingsrespons op T = 2 en 5 jaar na start van de biologische therapie
- Om ernstige bijwerkingen in onze cohort te registreren in de komende 5 jaar.
- Om de huidige sociaal-economische impact van deze chronische ziekte in gezinnen met een getroffen kind met JIA te beoordelen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Gewrichtsontstekingen bij kinderen omvat een aantal ziekten die zich manifesteren als pijnlijke, stijve, gezwollen gewrichten en omliggende structuren. Jeugdige patiënten welke gediagnosticeerd worden met jeugdreuma ervaren slopende symptomen die een dramatisch effect hebben op de kwaliteit van leven die zich ook kunnen voortzetten tijdens het volwassen leven in de vorm van chronische reumatische aandoeningen. Het vinden van tijdige en effectieve behandelingen is op zowel korte als de langere termijn voor kinderen met deze ziekte cruciaal. Kinderen die een hoog risico lopen op permanente gewrichtsschade door hun jeugdreuma, hebben vaak geavanceerde therapeutische middelen nodig die biologicals worden genoemd.

Eén op de drie jeugdige en volwassen patiënten ontvangt momenteel biologicals voor de behandeling van (jeugd)reuma zonder einddatum van de behandeling. Dit laatste resulteerde in een geschatte uitgave van \$ 6,4 miljard in het jaar 2000, dat in 2011 alleen al in Canada steeg tot \$ 33 miljard. Ditzelfde scenario werd herhaald in Nederland, waar de kosten voor biologische therapieën in RA verdubbelden van 2007 tot 2011. Hoewel biologicals de uitkomsten van de ziekte dramatisch kunnen verbeteren, kunnen ongunstige bijwerkingen optreden bij deze behandeling en het gebruik van deze therapieën legt een aanzienlijke economische last op de patiënten, hun families en de samenleving. Een van de sterke punten van het bestuderen van ziektes bij kinderen is dat we meer te weten kunnen komen over de onderliggende pathobiologie van chronische ontstekingen zonder de invloeden van veroudering, gevarieerde blootstelling van het milieu en levensstijlkeuzes, die vaak versturende factoren zijn bij het bestuderen van volwassen populaties. Bovendien kan de kennis die we op het gebied van immunologie verwerven bij het bestuderen van kinderen, zeer relevant zijn en ook van toepassing zijn op de volwassen populaties.

Recent werk van ons team heeft vastgesteld dat patiënten en de respons op de behandeling zinvol kunnen worden geclassificeerd met behulp van benaderingen die uitgebreide biologische en klinische gegevens integreren.

Ons onderzoeksprogramma, UCAN CAN-DU, zal een veelzijdige benadering hebben met een focus op de ontwikkeling van nieuwe concepten voor gestandaardiseerde evaluatie van ziekteactiviteits-resultaten, nieuwe op e-Health gebaseerde door de patiënt gerapporteerde resultaten en de real-time integratie van individuele biologische profielen. Met dit laatste kunnen we leren van elk kind en gezin - we zullen de praktijk informeren, terwijl we voor de kinderen zorgen en de veranderende zorg versnellen.

Doel van het onderzoek

Deze niet-interventionele, observationele cohortstudie heeft tot doel de beoordeling van ziekteactiviteit bij alle JIA-patiënten te standaardiseren en dit te correleren met systematisch verkregen klinische, omgevings- en laboratoriumgerelateerde gegevens. Uiteindelijk zullen deze gegevens worden

gebruikt om de huidige step-up-behandelingsaanpak van JIA om te zetten in een meer gepersonaliseerde behandelaanpak. Dit doel vereist de oprichting van een groot, multicenter, nationaal samenwerkingsnetwerk, inclusief alle (academische) pediatrie reumatologie-expertisecentra in Nederland en Canada. UCAN CAN DU zal de logistieke en technische voorwaarden stellen om een **duurzaam netwerk te creëren, aangestuurd door vanuit de patiënt gemelde uitkomstmaten.

Een van de uitdagingen als het gaat om de behandeling van artritis bij kinderen, is het bieden van de juiste behandeling op het juiste moment. Hoewel geavanceerde biologische therapieën vaak worden gebruikt en zeer effectief kunnen zijn, zijn we momenteel niet in staat om nauwkeurig te voorspellen welke kinderen biologicals moeten starten en welke behandeling kan staken zonder een opvlamming te krijgen. Het overkoepelende doel van de UCAN CAN-DU-studie is om deze kloof in behandelmethoden aan te pakken en translationeel onderzoek te ondersteunen voor alle kinderen met jeugdreuma. We stellen voor om meerdere gegevenstypes te combineren, om biomarkers te identificeren die diagnostische en prognostische informatie kunnen verschaffen aan zorgverleners aan het bed. We zullen een profiel van biomarkers ontwikkelen om de respons op de behandeling te voorspellen en een aparte set biomarkers om het risico op terugval te voorspellen.

Onderzoeksopzet

UCAN CAN-DU is een multicenter longitudinale observationele cohortstudie die prospectief gegevens van kinderen met JIA zal verzamelen. Bloedmonsters en klinische gegevens zullen prospectief worden verzameld bij deelnemende centra. Alle klinische en biologische zowel als de uitkomsten uit de vragenlijsten worden centraal verzameld.

De analyse van dit prospectieve cohort zal helpen bij het definiëren en bevestigen van de voorspellers (biomarkers) in het bloed voor de respons van de behandeling en de remissie van de ziekte. Deze kennis zal vervolgens worden gebruikt om een **uitgebreid klinisch voorspellend hulpmiddel te ontwikkelen om in de toekomst een **effectieve en veilige behandeling van jeugdreuma bij kinderen in te kunnen zetten.

Inschatting van belasting en risico

We verwachten geen nadelige effecten van het onderzoek. Extra bloedafname bij een standaard bloedafname-moment kan gepaard gaan met een blauwe plek of lichte pijn. We zullen de deelnemers een gelokaliseerde verdovende crème of verdovingspleisters aanbieden om het ongemak te beperken wanneer dat mogelijk is.

Er worden geen andere nadelige gevolgen verwacht.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584CX
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584CX
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)
Baby's en peuters (28 dagen - 23 maanden)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Voor cohort 1, 2 en 3:

- 18 jaar of jonger

Cohort 1:

- actieve artritis verdenking van jeugdreuma

- behandelings naïef
- * Geen systemische corticosteroiden in de afgelopen 4 weken
- * Geen intra-articulaire injecties met corticosteroiden in de afgelopen 4 weken
- * NSAID binnen 6 maanden van de diagnose is toegestaan

Cohort 2: Start biologicals

- diagnose jeugdreuma aan de hand van ILAR criteria (alle subtypes)
- actieve artritis

bij sJIA, actieve ziekte niet noodzakelijk met artritis

- Moment van start, herstart of wisseling van behandeling met biologicals: bijvoorbeeld bij gebrek aan of onvoldoende/gedeeltelijke reactie op dan wel intolerantie voor conventionele DMARDs

Cohort 3: Stop biologicals

- diagnose jeugdreuma op basis van ILAR criteria (alle subtypes)
- inactieve ziekte, voornemens om te stoppen of afbouwen van biologicals

Cohort 4 - extreem fenotype

- Onverklaarde systemische ontsteking met artritis / artralgie als een onderdeel van manifestaties, of;
- Hoog vermoeden van genetische bijdrage, of;
- Ernstig getroffen patiënten met een moeilijk te bestrijden ziekte (dwz het falen van meerdere klassen van biologicals)
- 1 of 2 ouders of broertjes/zussen met een diagnose van JIA of een andere artritis gerelateerde aandoening

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Cohort 1:

- gewrichtsontstekingen met een andere oorzaak
- Eerdere behandeling met injecties in gewrichten

Cohort 2:

- gewrichtsontstekingen met een andere oorzaak
- tart met biologicals bij een indicatie van alleen uveitis

Cohort 3:

- afbouwschema langer dan 12 maanden, om stop met biologicals te voltooien
- voortzetting conventionele DMARDs

Cohort 4:

- gewrichtsontsteking met een andere oorzaak

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 28-03-2019

Aantal proefpersonen: 1400

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 06-03-2019

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-06-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 19-08-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-11-2021

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
CCMO	NL65212.041.18