

DCOG-iTHER: geïndividualiseerde therapie voor kinderen met recidief/refractaire maligniteiten door middel van moleculaire profilering

Gepubliceerd: 09-01-2017 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

De analyse van het aantal patiënten waar een mogelijke behandeling kan plaatsvinden op basis van een waargenomen (kiembaan/somatische) moleculaire afwijking (actionable events) bij patiënten met een recidief/refractaire kinderoncologische tumor waar...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Diverse en niet plaatsgespecif. neoplasmata, maligne en niet-gespecif.
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON55694

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

DCOG-iTHER

Aandoening

- Diverse en niet plaatsgespecif. neoplasmata, maligne en niet-gespecif.

Synoniemen aandoening

kanker, recidiverende/persisterende maligniteiten

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: behandelbare laesies, kinderoncologie, Moleculaire profilering, recidief

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

-Het aantal geïnccludeerde patiënten waarbij actionable lesions geïdentificeerd kunnen worden gedeeld door het totaal aantal geïnccludeerde patiënten.

Secundaire uitkomstmaten

-Het totaal jaarlijks aantal kinderoncologische patiënten in Nederland met een recidief/refractair maligne aandoening voor wie nog geen standaard protocol of behandeling voor handen is (per protocol populatie).

-Het totaal aantal patiënten die een diagnostische tumor biopsie kunnen ondergaan (als standaard zorg) gedeeld door het totaal aantal geïnccludeerde patiënten (protocol populatie)

-Het aantal patiënten met tumor biopsies geassocieerde/procedure-gerelateerde complicaties gedeeld door alle patiënten die een tumor biopsie hebben ondergaan.

-Het aantal patiënten waarbij tumor materiaal is verkregen van voldoende kwaliteit voor een moleculaire profilering gedeeld door het totaal aantal patiënten dat een tumorbiopsie heeft ondergaan.

-Het aantal patiënten waarvoor actionable lesions zijn geïdentificeerd gedeeld door het aantal patiënten waar een moleculair profiel voor was verkregen.

-Het aantal patiënten met een kiembaan mutatie in een kanker predispositie gen gedeeld door het aantal patiënten waarvoor kiembaan mutatie analyse succesvol verricht kon worden.

-Het aantal patiënten waarvoor de kweek van organoids succesvol is gedeeld door het aantal patiënten waarbij residuele levende cellen beschikbaar waren voor organoid kweek.

-Het aantal patiënten waarvoor er een uitslag van het geneesmiddelen gevoeligheid onderzoek beschikbaar is gedeeld door het aantal patiënten voor wie de kweek van organoids succesvol was.

-Het aantal patiënten waarvoor de moleculaire tumor board in staat is gebleken een behandeladvies af te geven aan de behandelend arts gedeeld door alle patiënten waarbij actionable lesions zijn geïdentificeerd.

-Het tijdsbestek tussen de datum van biopsie en de datum van het behandeladvies van de moleculaire tumor board.

-Het aantal patiënten welke behandeld zijn volgens de aanbeveling van de moleculaire tumor board gedeeld door het totaal aantal patiënten waarvoor de MTB een behandel advies uitbracht.

-Ernstige bijwerkingen geobserveerd in de behandelde patiënten zullen worden beschreven.

-Behandel respons in solide tumoren (complete respons, partiële respons, stabiele ziekte of progressie) zal worden vastgesteld met behulp van de RECIST criteria.²⁶ In leukemie wordt complete remissie gedefinieerd als <5% blast cellen in het beenmerg.

-Overlevings parameters: 'overall survival' (OS) (het percentage mensen welk nog steeds in leven is na één jaar geïncubeerd te zijn in de studie) en 'progression free survival' (PFS) (de verstreken tijd tussen inclusie in de studie en het moment van progressie van de ziekte of overlijden van de patiënt

als gevolg van een willekeurige oorzaak). Zowel OS als PFS worden geschat voor het gehele cohort van patiënten met behulp van de Kaplan-Meier 'estimator'.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De kinderoncologie heeft een significante ontwikkeling doorgemaakt in genezing van kanker door het optimaliseren van de supportieve care en de behandeling met chemotherapie, operatie, bestraling, stamceltransplantatie en/of immunotherapie. Van alle kinderen met kanker is, ondanks deze vooruitgang, nog 25% niet te genezen door het gebrek aan een effectieve behandeling. Daarom zijn nieuwe behandelingsmogelijkheden zeer gewenst. Gerichte behandeling met kleine moleculen op basis van afwijkingen in het DNA van de tumor zijn een veelbelovende toepassing. Dit vereist echter dat er een moleculair profiel van de tumor wordt vastgesteld waarbij tumor-specifieke genetische afwijkingen worden geïdentificeerd.

Doel van het onderzoek

De analyse van het aantal patiënten waar een mogelijke behandeling kan plaatsvinden op basis van een waargenomen (kiembaan/somatische) moleculaire afwijking (actionable events) bij patiënten met een recidief/refractaire kinderoncologische tumor waar geen standaard behandeling of studie protocol voorhanden is.

Onderzoeksopzet

Dit is een niet-gerandomiseerde enkel-armige observationele studie waarbij tumorbiopsies en kiembaan weefsels, die worden afgenomen als standaard zorg ter bevestiging van de recidiverende of refractaire maligniteit, van patiënten met een recidiverende/refractaire tumor worden onderzocht op hun moleculair profiel.

Inschatting van belasting en risico

Het hoofddoel van deze studie is het ontwikkelen van een patiënt specifieke (personalized medicine) behandeling op basis van de identificatie van te behandelen moleculaire laesies in kindertumoren. Er zijn geen risico's verbonden aan deelname aan deze studie, omdat de biopsie deel uitmaakt van de standaard behandeling. De studie bestaat uit het vaststellen van behandelbare afwijkingen van zowel het kiembaan DNA alsook DNA-afwijkingen van het tumor materiaal, welke worden geprioritiseerd door een Moleculair Tumor Board (MTB).

Daarnaast worden patiënt karakteristieken en de klinische follow-up geregistreerd. Wanneer te behandelen laesies worden geïdentificeerd en de patiënt wordt behandeld met een target-specifiek geneesmiddel (door inclusie in een aparte clinical trial, op basis van compassionate use, of door off-label gebruik van een commercieel geneesmiddel), kan de patiënt mogelijk profijt ondervinden van de toegepaste moleculaire diagnostiek binnen deze studie. Behandelingsinterventies zijn geen onderdeel van deze studie maar data voortkomend uit de behandeling zullen worden geregistreerd in lijn van deze studie. Wanneer kiembaan mutaties zijn gedetecteerd en patiënt en/of ouders hebben aangegeven geïnformeerd te willen worden, zal de behandelend arts worden geïnformeerd zodat deze de patiënt/ouders kan verwijzen naar de klinische genetica voor counseling en verificatie van de gedetecteerde kiembaan mutatie.

Contactpersonen

Publiek

Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Heidelberglaan 25
Utrecht 3584 CS
NL

Wetenschappelijk

Prinses Máxima Centrum voor Kinderoncologie

Heidelberglaan 25
Utrecht 3584 CS
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)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Kinderen en jong volwassenen met kinderoncologische tumoren (<30 jaar) kunnen worden geïnccludeerd in deze studie wanneer zij klinisch verdacht worden van het hebben van een recidiverende of persisterende tumor waar geen standaard behandeling voor handen is en wanneer zij een informed consent hebben getekend.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Wanneer een patiënt niet veilig gebiopteerd kan worden of ernstig orgaanfalen het onmogelijk maakt om procedures van het protocol te kunnen opvolgen. Ook wanneer de behandelend arts constateert dat deelname is uitgesloten door een ander voorkomende aandoening.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 18-04-2017

Aantal proefpersonen: 200

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 09-01-2017

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 16-03-2017

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-02-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 14-10-2019

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-07-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

ID: 29251

Bron: NTR

Titel:

In overige registers

Register	ID
Ander register	Nederlands Trial Register 5915
CCMO	NL56826.078.16
OMON	NL-OMON29251