

De dynamische interactie tussen bleedingsfenotype en baseline factor level in matig-ernstige en milde hemofilie A en B

Gepubliceerd: 13-09-2017 Laatste bijgewerkt: 15-04-2024

Het primaire doel is om de associatie tussen factor VIII en IX plasma levels en bleedingsfenotype te analyseren.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Stollingsstoornissen en bleedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON55705

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Dynamo

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bleedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

bleedingsziekte, Hemofilie A en B

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: NovoNordisk

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Baseline factor level, Bloedingsfenotype, Hemofilie A, Hemofilie B

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Deel 1 Cohort studie

De volgende data zal worden verzameld: demografische gegevens, lichamelijke activiteiten, status bewegingsapparaat, gemeten FVIII/IX waarden, beloop en duur van alle bloedingsepisodes, behandelingen en respons. Centrale assays voor FVIII en FIX waarden zullen worden uitgevoerd.

Secundaire uitkomstmaten

Deel 2: Substudie

Een subset van 50 patiënten van tenminste 24 jaar (50 hemofilie A) zal gedetailleerd worden onderzocht door data verzameling en analyse van:

- gewrichtsstatus en functie mbv lichamelijk onderzoek
- 3 Tesla MRI
- biomarkers voor gewrichtsschade

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Milde en matig-ernstige hemofilie A en B zijn X-chromosomale bloederziektes die veroorzaakt worden door een tekort aan stollingsfactor VIII (FVIII, hemofilie A) of IX (FIX, hemofilie B). Patiënten hebben een verhoogde bloedingsneiging. De belangrijkste determinant voor de grootte van deze bloedingsneiging is de hoogte van de plasma concentratie FVIII of FIX (FVIII:C, FIX:C). De relatie tussen deze waarden en de bloedingsneiging is in hemofilie A verschillend beschreven en is tot op heden nog niet onderzocht in hemofilie B. Daarom is het doel van deze studie om de associatie tussen FVIII:C en FIX:C en

bloedingsfenotype te onderzoeken. Deze kennis zal ons meer inzicht geven in het ontstaan en de uiting van verschillende bloedingsneigingen in hemofilie.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel is om de associatie tussen factor VIII en IX plasma levels en bloedingsfenotype te analyseren.

Onderzoeksopzet

Observationele cohort studie.

Inschatting van belasting en risico

Cohort studie:

Deelnemers aan de cohort studie ondervinden een kleine extra belasting. De eenmalige bloedafname zal gekoppeld zijn aan routine bloedonderzoek. Hierdoor is de extra belasting evenals het risico voor de proefpersoon minimaal. De vragenlijst die patiënten in zullen vullen zal online beschikbaar gemaakt worden zodat men deze thuis in kan vullen. Het invullen zal maximaal 30 minuten duren.

Substudie:

Deelnemers aan de substudie ondervinden een extra belasting. Zij zullen gevraagd worden om naar het ziekenhuis te komen waar zij 2 uur zullen doorbrengen voor een bloedafname, lichamelijk onderzoek en voor een MRI. Ook voor hen zal de vragenlijst die ze gevraagd wordt om in te vullen online beschikbaar gemaakt worden zodat deze thuis ingevuld kan vullen. Het invullen zal maximaal 30 minuten duren.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Flemingweg 18
Alphen aan de Rijn 2408 AV
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Flemingweg 18
Alphen aan de Rijn 2408 AV
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

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

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Matig-ernstige of milde hemofilie A (FVIII:C 0.02*0.35 IU/mL) of hemofilie B (FIX:0.02*0.35 IU/ml)
 - 12-55 jaar
- Extra voor substudie:
- Tenminste 24 jaar of ouder

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Andere stollingsziekte
- Deelname aan ander onderzoek waarbij een product wordt gebruikt dat nog onderzocht wordt
- Co-morbiditeiten die het bewegingsapparaat aantasten
- Een klinisch relevante remmer op dit moment of in het verleden
- Hemofilie B Leyden
- Gebruik van anticoagulantia

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: 16-01-2018

Aantal proefpersonen: 190

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 13-09-2017

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 19-12-2017

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 22-01-2018

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-03-2018

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC

Goedgekeurd WMO

Datum:	23-10-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-05-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-07-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-03-2021
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	NL61564.018.17