

Testen van versie A van het EnzySystem voor hemofilie A

Gepubliceerd: 06-05-2024 Laatste bijgewerkt: 02-12-2024

Het primaire doel van deze studie is om aan te tonen dat de EnzySystem HemA-versie A TG kan registreren en FVIII-activiteitsniveaus kan kwantificeren binnen een tijdsbestek van 60 minuten in vers volbloedmonsters van gezonde vrijwilligers en...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON56741

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

HEMSTOL77 - EnzySystem

Aandoening

- Stollingsstoornissen en bloedingsdiathesen (excl. trombocytopenische)

Synoniemen aandoening

congenitale bloedingsziekte, Hemofilie A

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: de Radboudumc spin off Enzyre B.V., Enzyre B.V.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Diagnostiek, Hemofilie A, point-of-care, Trombine generatie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Demonstreer dat de EnzySystem HemA-versie A TG- en kwantitatieve FVIII-activiteitsniveaus kan registreren binnen een tijdsbestek van 60 minuten in vers bloedmonsters van gezonde vrijwilligers en patiënten met hemofilie A.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire onderzoeksparameters worden samengesteld of de gemeten waarden voldoen aan de gewenste assayspecificiteit en nauwkeurigheid. Resultaten worden geanalyseerd op gelijkwaardigheid in vergelijking met een fase FVIII-assay, FVIII-chromogene assay, trombinegeneratie via de Nijmeegse Hemostase-assay en mogelijk via de Technoclone-assay.

Is het mogelijk om FVIII-activiteit te meten met het EnzySystem HemA versie A in vers bloedmonsters van gezonde vrijwilligers en patiënten met hemofilie A, vergeleken met de gouden standaard met;

- Precisie in het normale bereik (60-140%): min. 30%
- Precisie in het lage bereik (3-10%): min. 50%
- Limiet van detectiebereik min. 100% FVIII-activiteit
- Detectielimiet laag bereik min. 3% FVIII-activiteit

Is het mogelijk om TG te meten met het EnzySystem HemA versie A in vers bloedmonsters van gezonde vrijwilligers en patiënten met hemofilie A,

vergeleken met de gouden standaard met;

- Precisie in het normale bereik (60-140%) van controlemonsters: min. 30%
- Precisie bij patiënt met hemofilie A: min. 50%
- Detectielimiet, hoog bereik > 400 nM trombineactiviteit
- Detectielimiet gemeten met plasma, laag bereik < 50 nM trombine

Andere studieparameters

Alle monsters zullen ook worden getest op andere hemostase-specifieke parameters, aangezien deze parameters een juiste meting van zowel FVIII-activiteit als trombinevorming kunnen beïnvloeden. De volgende parameters worden gemeten in plasma verkregen uit de volbloedvacutainers. Bovendien zullen de overgebleven monsters (plasma) uiteindelijk worden gebruikt om andere stollingsgerelateerde parameters te ontwikkelen.

- von Willebrand Factor-antigeenniveaus
- von Willebrand Factor ristocetine activiteitsniveaus
- Protrombine Fragment 1+2 niveaus
- ADAMTS13-activiteit
- FVIII-antigeenniveaus
- bloedgroep

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Voor het meten van de bloedstolling wordt bloed afgenomen uit een ader. Dit bloed wordt in het laboratorium bewerkt en vervolgens getest. Er is een nieuw

apparaat ontwikkeld waarvoor maar een heel klein volume bloed (5-10 druppels bloed) nodig is om de laboratoriumtesten te doen. Op termijn is het doel dat dit apparaat door een arts of thuis gebruikt kan worden om snel een meting van de bloedstolling te kunnen doen. In dit onderzoek willen we dit nieuwe systeem vergelijken met de standaard methoden - meting in het laboratorium - en evalueren of de juiste waarde wordt bepaald.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van deze studie is om aan te tonen dat de EnzySystem HemA-versie A TG kan registreren en FVIII-activiteitsniveaus kan kwantificeren binnen een tijdsbestek van 60 minuten in vers volbloedmonsters van gezonde vrijwilligers en patiënten met hemofilie A in het Enzyre-laboratorium (voor gezonde vrijwilligers) en het Radboudumc (voor patiënten met hemofilie A).

Onderzoeksopzet

Dit is een cross-sectioneel observationeel onderzoek.

Alle deelnemers worden gevraagd om voorafgaand aan de bloedafname een vragenlijst in te vullen. Het bloed van gezonde vrijwilligers wordt verzameld in een kantoor van Enzyre BV, het bloed van patiënten wordt verzameld in het Radboudumc. De bloedafname, via venapunctie, wordt op beide locaties uitgevoerd door een onderzoeksverpleegkundige van het Radboudumc of arts van het onderzoeksteam.

In totaal worden er vier bloedbuisjes met citraat als antistollingsmiddel afgenomen (totaal ongeveer 11 ml).

Inschatting van belasting en risico

We verwachten geen risico of impact voor de proefpersonen en patiënten die aan het onderzoek deelnemen. Het protocol heeft alleen betrekking op bloedafname.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525 GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525 GA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Gezonde vrijwilligers:

Leeftijd tussen 20 en tussen 20 en 70 jaar (gelijkelijk verdeeld over de leeftijdscategorie)

- 7 vrijwilligers 20-40 jaar oud
- 7 vrijwilligers 40-60 jaar oud
- 6 vrijwilligers 60+ jaar oud

Hemofilie A-patiënten:

Gediagnosticeerd met milde (FVIII-activiteitsniveaus 5-40%), matige (FVIII-activiteitsniveaus 1-5%) of ernstige hemofilie A (FVIII-activiteitsniveaus <1%)

medicatie

- on demand behandeling
- washout van de behandeling van ten minste 24 uur na behandeling met substitutietherapie met een korte halfwaardetijd (SHL)
- washout van de behandeling van ten minste 72 uur na behandeling met vervangende therapie met verlengde halfwaardetijd (EHL)

Leeftijd 20-70 jaar oud

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Een gezonde vrijwilliger die aan een van de volgende criteria voldoet, wordt uitgesloten van deelname aan dit onderzoek:

- gebruik van anticoagulantia of bloedplaatjesantagonisten (aspirine of een TAR);
- bekende allergie voor roestvrij staal;
- trauma of operatie in de afgelopen twee weken;
- zwangerschap;
- gebruik van:
 - NSAID's;
 - antimicrobiële medicatie;
 - schildklierremmers; of SSRI's.

Een hemofilie A patiënt die aan een van de volgende criteria voldoet, wordt uitgesloten van deelname aan dit onderzoek:

- gebruik van anticoagulantia of bloedplaatjesantagonisten (aspirine of een TAR);
- bekende allergie voor roestvrij staal;
- trauma of operatie in de afgelopen twee weken;
- een bloeding in de afgelopen twee weken;
- klinische kenmerken van levercirrose (echografische indicatie, vergrote milt, verlaagd aantal bloedplaatjes);
- zwangerschap;
- verworven FVIII-remmers;
- gebruik van:
 - NSAID's;
 - antimicrobiële medicatie;
 - schildklierremmers of SSRI's;
 - Emicizumab.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Actieve controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland
Status: Werving gestart
(Verwachte) startdatum: 28-05-2024
Aantal proefpersonen: 40
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO
Datum: 06-05-2024
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO
Datum: 22-05-2024
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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	NL82879.091.22