

GLANZMANN THROMBASTHENIA NATURAL HISTORY STUDY+

Gepubliceerd: 30-05-2024 Laatste bijgewerkt: 18-11-2024

Het primaire doel van dit onderzoek is het bepalen van het genetische fenotype en de prevalentie van anti-HLA and anti-HPA antistoffen in patiënten met de ziekte van Glanzmann.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Plaatjesaandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON56766

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Glanzmann-NHS+

Aandoening

- Plaatjesaandoeningen

Synoniemen aandoening

Glanzmann trombastenie, ziekte van Glanzmann

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: Farmaceutisch bedrijf, Hemab ApS

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Antilichaam bepaling, Bloedplaatjesaandoening, Genetische mutaties, Ziekte van Glanzmann

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Bepalen van het genetisch fenotype bij patiënten met de ziekte van Glanzmann.

Secundaire uitkomstmaten

Bepalen van de prevalentie van anti-Human Leukocyte Antigens (HLA) en Human Platelet Antigens (HPA) antistoffen bij patiënten met de ziekte van Glanzmann.

Deze antistoffen kunnen ontstaan als gevolg van de huidige gouden standaard behandelmethode: bloedplaatjestransfusie of transfusie met andere bloedproducten zoals rode bloedcellen en plasma.

Tezamen met de data uit de Glanzmann-NHS registry, zullen de resultaten van de Glanzmann-NHS+ studie het mogelijk maken om te onderzoeken of er correlaties zijn tussen genotype en klinisch fenotype (bloedingsscore).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Glanzmann is een zeldzame autosomaal recessieve bloedplaatjesaandoening die wordt gekenmerkt door een gebrek aan functionele integrines α IIb of β 3 (glycoproteïnen IIb/IIIa). Het klinische fenotype wordt gedomineerd door een verhoogde neiging tot mucocutane bloedingen. Bij afwezigheid van een primaire bloedingsprofylaxe is de huidige behandeling van de ziekte van Glanzmann voornamelijk gericht op het voorkomen of beheersen van bloedingen. Naarmate er echter potentiële nieuwe therapieën opduiken, hebben artsen veiligheids- en werkzaamheidsgegevens op lange termijn nodig voor zowel de huidige behandeling als nieuwe therapieën.

De Glanzmann-NHS+ studie is opgezet om het genetische fenotype en de prevalentie van antistoffen tegen human leucocyte antigen (HLA) en human platelet antigen (HPA) te bepalen. Anti-HLA -en HPA antistoffen kunnen ontstaan na behandeling met de huidige gouden standaard: bloedplaatjestransfusie. De

resultaten van deze studie zullen worden samengevoegd met een longitudinale registry waarin retrospectieve en prospectieve data worden verzameld over het klinisch fenotype, bloedingslast en bloedingsmanagement. Analyse van de Glanzmann-NHS+ studie en de registry zullen ons helpen om de klinische variatie bij mensen met de ziekte van Glanzmann beter te begrijpen. Het uiteindelijke doel is om de zorg voor patiënten met de ziekte van Glanzmann te verbeteren.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van dit onderzoek is het bepalen van het genetische fenotype en de prevalentie van anti-HLA and anti-HPA antistoffen in patiënten met de ziekte van Glanzmann.

Onderzoeksopzet

Internationale, cross-sectionele, multi-center studie om de genetische mutaties en de prevalentie van anti-HLA en anti-HPA antistoffen te bepalen in patiënten met de ziekte van Glanzmann.

Inschatting van belasting en risico

Resultaten van deze studie zullen samen met de resultaten van onze longitudinale registry met retrospectieve en prospectieve data verzameling over klinisch fenotype, bloedingslast en bloedingsmanagement, bijdragen aan een beter inzicht in de ziekte van Glanzmann en het mechanisme achter deze ziekte. Samen zal het ons helpen om toekomstige behandelopties uit te breiden en om de zorg voor deze patiëntengroep te verbeteren. De studie handelingen bestaan uit een enkele venapunctie die gecombineerd zal worden met venapunctie tijdens controlebezoek op de poli in het kader van standaardzorg. Het risico van deelname aan deze studie wordt als verwaarloosbaar geschat.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100 - Huispost C01.428 Heidelberglaan 100 - Huispost C01.428
Utrecht 3584CX
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100 - Huispost C01.428 Heidelberglaan 100 - Huispost C01.428
Utrecht 3584CX
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (16-17 jaar)

Volwassenen (18-64 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- o Volwassen patiënten (≥ 16 jaar);
- o Biochemisch of genetisch gediagnosticeerd als Glanzmann thrombasthenia.
- o Bereid en in staat zijn om geschreven toestemming te geven

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Patiënten met verworven trombasthenische toestanden veroorzaakt door auto-immuunziekten of medicijnen.

Onderzoekopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 11-07-2024

Aantal proefpersonen: 30

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 30-05-2024

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC NedMec

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-09-2024

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

ClinicalTrials.gov

CCMO

ID

NCT06204042

NL85068.041.24