

Samenvatting van de resultaten van een klinisch onderzoek

Een onderzoek om na te gaan of een groep biomarkers in het bloed zou kunnen helpen bij de vroege vaststelling van pulmonale hypertensie bij volwassenen

Hartelijk dank!

De opdrachtgever wil iedereen bedanken die heeft deelgenomen aan dit klinisch onderzoek.

U heeft onze onderzoekers geholpen te weten te komen of een groep biomarkers in het bloed zou kunnen helpen bij de vroege vaststelling van pulmonale hypertensie bij volwassenen.

Deze samenvatting is geschreven voor de deelnemers aan dit onderzoek in niet-technische taal die duidelijk en gemakkelijk te begrijpen is. Het is belangrijk om te weten dat deze samenvatting alleen de resultaten van één onderzoek weergeeft en dat andere onderzoeken andere resultaten kunnen hebben.

Het is van essentieel belang dat u geen beslissing neemt over uw gezondheidszorg op basis van de resultaten van dit onderzoek. Praat altijd met een arts voordat u beslissingen neemt over gezondheidszorg, of als u vragen heeft over de resultaten van dit onderzoek.

In deze samenvatting verwijst 'opdrachtgever' naar het bedrijf dat de verantwoordelijkheid voor dit onderzoek op zich neemt. 'Onderzoekers' verwijst naar de opdrachtgever, en de artsen en het personeel van de onderzoekscentra.

Inhoud van deze samenvatting

Wat was het doel van dit onderzoek?	3
Waar en wanneer werd dit onderzoek uitgevoerd?	4
Wie nam deel aan het onderzoek?	4
Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?	5
Wat waren de belangrijkste resultaten van dit onderzoek?	5
Welke ongewenste voorvallen die verband hielden met de onderzoeksprocedures werden gemeld tijdens dit onderzoek?	7
In welke mate was dit onderzoek nuttig?	8
Waar kan ik meer informatie over dit onderzoek vinden?	9

Wat was het doel van dit onderzoek?

Pulmonale hypertensie

Pulmonale hypertensie (PH) is een ziekte van de bloedvaten in de longen. Bij PH wordt de bloeddruk in de longslagaders hoger dan normaal. Longslagaders zijn de bloedvaten die bloed van het hart naar de longen voeren om zuurstof op te nemen. De ziekte wordt vaak niet opgemerkt totdat deze ernstig wordt. Daarom zijn onderzoekers op zoek naar nieuwe manieren van testen die zouden kunnen helpen bij het vroeg vaststellen van PH.

Biomarkers

Biomarkers zijn specifieke aanwijzingen in het lichaam die kunnen helpen bij de diagnose van ziekten. Sommige ziekten hebben hun eigen groep biomarkers. Deze groep biomarkers wordt een 'biomarkersignatuur' voor de ziekte genoemd. Uit de aanwezigheid, afwezigheid of veranderingen in de hoeveelheid van specifieke biomarkers in het bloed kunnen artsen te weten komen of het waarschijnlijk is dat iemand de ziekte heeft of niet. Er zijn veel soorten biomarkers in het bloed. Dit kunnen bepaalde eiwitten of andere biologische materialen zijn die in het bloed circuleren (bijvoorbeeld micro-RNA's). Micro-RNA's helpen bij het reguleren van de hoeveelheden en soorten eiwitten die in het lichaam worden aangemaakt.

Doel van het onderzoek

In dit onderzoek wilden de onderzoekers nagaan of een biomarkersignatuur in het bloed zou kunnen helpen bij de vroege vaststelling van PH bij volwassenen. Binnen één enkel onderzoek willen onderzoekers normaal gesproken verschillende vragen beantwoorden. In dit onderzoek waren er drie hoofdvragen:

- Waren er micro-RNA-biomarkers in het bloed die een biomarkersignatuur zouden kunnen vormen waarmee de onderzoekers de deelnemers met mogelijke PH zouden kunnen herkennen?
- Kan de geselecteerde biomarkersignatuur in het bloed worden gebruikt als test om deelnemers met PH correct aan te wijzen?
- Kan de geselecteerde biomarkersignatuur in het bloed deelnemers met PH correct aanwijzen in vergelijking met een test die een echocardiogram wordt genoemd?



Een echocardiogram is een test waarbij geluidsgolven worden gebruikt om beelden van het hart en de bloedvaten te maken. Het helpt artsen om de grootte van het hart, de bloedtoevoer naar het hart en de gezondheid van het hart te beoordelen. Het kan worden gebruikt om mensen met PH te herkennen.



Het in deze samenvatting gebruikte informatiepictogram is bedoeld om uw aandacht te vestigen op nuttige aanvullende informatie die u zal helpen deze samenvatting beter te begrijpen.

Waar en wanneer werd dit onderzoek uitgevoerd?

Aan dit onderzoek namen 905 deelnemers uit negen landen/gebieden deel.

Onderstaande tabel toont het aantal deelnemers per regio.

Aantal deelnemers per regio

Regio	Deelnemende landen/gebieden	Aantal deelnemers
Europa	België, Duitsland, Frankrijk, Nederland, Oekraïne, Polen, Spanje en het Verenigd Koninkrijk	609
Noord-Amerika	Verenigde Staten	296

Dit onderzoek begon in december 2019 en eindigde in februari 2022, dus het volledige onderzoek duurde ongeveer 2 jaar en 2 maanden.

Een deelnemer kon maximaal 3 dagen aan dit onderzoek deelnemen.

De onderzoekers voltooiden het onderzoek zoals gepland. Na afloop van het onderzoek heeft de opdrachtgever de gegevens nagekeken en van de resultaten een rapport gemaakt. Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten in dat rapport.

Wie nam deel aan het onderzoek?

De onderzoekers nodigden mannen en vrouwen uit om deel te nemen aan dit klinisch onderzoek als ze:

- ten minste 18 jaar oud waren;
- geen long- of harttransplantatie hadden ondergaan;
- voldeden aan een van de volgende drie sets van voorwaarden:

- Ze hadden PH.
- Ze hadden binnen 18 maanden vóór het onderzoek een rechterhart-katheterisatie (RHC) ondergaan.

- Ze hadden geen PH, maar symptomen van PH zoals kortademigheid en enkele hart- en longproblemen.
- Ze hadden binnen 6 maanden vóór de start van het onderzoek een RHC ondergaan.

Ze hadden een afspraak voor een RHC binnen 6 weken na opname in het onderzoek.



Een **rechterhartkatheterisatie (RHC)** is een test waarbij een dun, flexibel slangetje via een ader in het hart wordt ingebracht om de bloeddruk in de rechterkant van het hart en de vaten naar de longen te meten. In dit onderzoek werd RHC gebruikt om te bevestigen of deelnemers al dan niet PH hadden.

In totaal was 61% (554 van de 905) van de deelnemers vrouw en 39% (351 van de 905) van de deelnemers man. De gemiddelde leeftijd van de deelnemers was 62 jaar.

Wat gebeurde er tijdens dit onderzoek?

Dit was een fase 0-onderzoek. Dit betekent dat het niet was gepland om de werkzaamheid van een geneesmiddel te onderzoeken. Fase 0-onderzoeken worden meestal gepland om meer te weten te komen over een methode, een ziekte of de veiligheid van een mogelijk nieuw geneesmiddel. De deelnemers kregen geen medicatie als onderdeel van dit onderzoek.

De onderzoekers controleerden of de deelnemers voldeden aan de voorwaarden om deel te nemen aan dit onderzoek.

Op dag 1:

- namen de onderzoekers bloed af van de deelnemers om biomarkers in het bloed te zoeken die zouden kunnen worden gebruikt als biomarkersignatuur voor de vroege vaststelling van PH;
- deden de onderzoekers een echocardiogram om de gezondheid van het hart van de deelnemers te beoordelen.

Wat waren de belangrijkste resultaten van dit onderzoek?

Dit is een samenvatting van de belangrijkste resultaten van dit onderzoek voor de volledige groep deelnemers. Deze samenvatting toont geen afzonderlijke resultaten voor individuele deelnemers. De resultaten van een individu kunnen verschillen van die van de volledige groep deelnemers.

Waren er micro-RNA-biomarkers in het bloed die een biomarkersignatuur zouden kunnen vormen waarmee de onderzoekers de deelnemers met mogelijke PH zouden kunnen herkennen?

Om deze vraag te beantwoorden, namen de onderzoekers op dag 1 bloed af van de deelnemers.

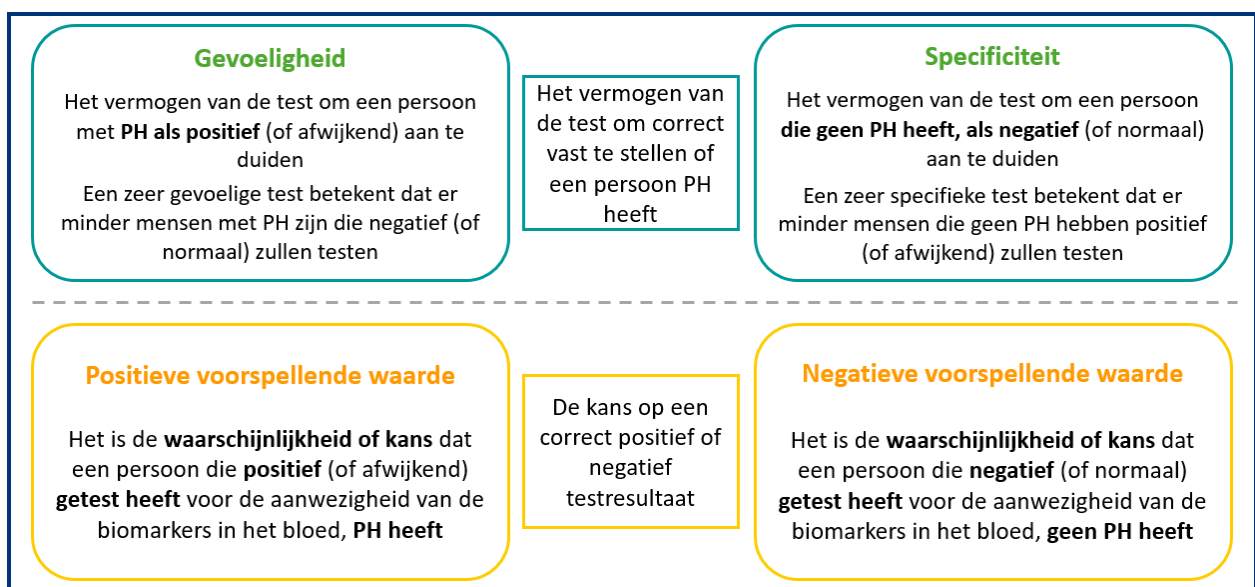
De onderzoekers vonden ongeveer 50 micro-RNA-biomarkers in het bloed van de deelnemers die mogelijk verband houden met PH.

Kan de geselecteerde biomarkersignatuur in het bloed worden gebruikt als test om deelnemers met PH correct aan te wijzen?

Elke deelnemer onderging vóór of tijdens het onderzoek een RHC die bevestigde of de deelnemer al dan niet PH had.

De onderzoekers wilden weten of de geselecteerde groep biomarkers in het bloed gebruikt zou kunnen worden als biomarkersignatuur om correct vast te stellen of een persoon PH had. De onderzoekers vergeleken de RHC-resultaten van elke deelnemer met de resultaten van hun biomarkersignatuur om te bepalen of de geselecteerde biomarkersignatuur de deelnemer correct aanwees als iemand met of zonder PH.

Om te beoordelen hoe goed de geselecteerde biomarkersignatuur kan helpen bij de vroege vaststelling van PH, hebben de onderzoekers de volgende vier kenmerken van de biomarkersignatuur (test) gemeten:



Het is wenselijk om een test te hebben die zowel zeer gevoelig als zeer specifiek is.

In dit onderzoek beoordeelden de onderzoekers de resultaten van de geselecteerde biomarkersignatuur in het bloed alleen, en in combinatie met de resultaten van een andere bloedtest. Deze bloedtest controleerde op de aanwezigheid van N-terminaal pro-B-type natriuretisch peptide (NT-proBNP).



NT-proBNP wordt aangemaakt door de hartspieren. Mensen met hartaandoeningen hebben een verhoogde hoeveelheid NT-proBNP in het bloed. Het meten van de hoeveelheid NT-proBNP in het bloed kan artsen helpen bij het vaststellen van hartaandoeningen.

Voor dit onderzoek hadden de onderzoekers vooraf vastgelegde voorwaarden voor gevoeligheid en specificiteit. Ze wilden weten of het NT-proBNP de gevoeligheid en specificiteit van de biomarkersignatuur verhoogde als test voor het vaststellen van PH.

De biomarkersignatuur (indien alleen beoordeeld of in combinatie met de aanwezigheid van NT-proBNP):

- voldeed aan de gevoeligheidsvoorwaarde (kan een persoon met PH betrouwbaar als positief aanwijzen);
- voldeed niet aan de specificiteitsvoorwaarde (kan een persoon zonder PH niet betrouwbaar als negatief aanwijzen).

Kan de geselecteerde biomarkersignatuur in het bloed deelnemers met PH correct aanwijzen in vergelijking met een test die een echocardiogram wordt genoemd?

De onderzoekers konden de resultaten van de biomarkersignatuur in het bloed niet vergelijken met die van het echocardiogram. Dit kwam omdat de resultaten van het echocardiogram voor bijna een derde van de deelnemers niet voldoende leesbaar waren om de beoordeling van PH mogelijk te maken.

In deze samenvatting worden alleen de resultaten van de hierboven genoemde hoofdvragen van het onderzoek beschreven. Informatie over verdere vragen die de onderzoekers hebben gesteld, staat op de website die aan het einde van deze samenvatting wordt genoemd.

Welke ongewenste voorvallen die verband hielden met de onderzoeksprocedures werden gemeld tijdens dit onderzoek?

Ongewenste voorvallen zijn medische problemen die zich kunnen voordoen bij deelnemers tijdens een onderzoek. Voor dit onderzoek legden de onderzoekers ongewenste voorvallen vast waarvan de onderzoeksarts dacht dat deze mogelijk verband hielden met de onderzoeksprocedures. De website die aan het eind van deze samenvatting staat vermeld, zal meer informatie bevatten over de ongewenste voorvallen die in dit onderzoek werden gemeld.



Deze samenvatting geeft de **ongewenste voorvallen** weer die tijdens het onderzoek werden gemeld en waarvan de **onderzoeksarts dacht dat deze mogelijk verband hielden met de onderzoeksprocedures**.

Bij geen enkele deelnemer werden ernstige ongewenste voorvallen gemeld (die bijvoorbeeld invaliditeit veroorzaken, verzorging in het ziekenhuis vereisen, levensbedreigend zijn of overlijden veroorzaken) die mogelijk verband hielden met de onderzoeksprocedures. Er overleden geen deelnemers tijdens het onderzoek. Geen enkele deelnemer stopte met het onderzoek vanwege een ongewenst voorval in verband met de onderzoeksprocedures.

Hoeveel deelnemers hadden last van ongewenste voorvallen in verband met onderzoeksprocedures?

De volgende ongewenste voorvallen waarvan men dacht dat ze verband hielden met de onderzoeksprocedures, werden elk door één deelnemer gemeld:

- keelpijn
- duizeligheid

In welke mate was dit onderzoek nuttig?

Dit onderzoek hielp onderzoekers meer te weten te komen over biomarkers in het bloed bij volwassenen met PH.

Op het moment dat deze samenvatting wordt afgerond, is de opdrachtgever niet van plan om nog andere onderzoeken uit te voeren om dit onderzoeksproject voort te zetten.

Onthoud dat deze samenvatting alleen de resultaten weergeeft van één onderzoek. Andere onderzoeken kunnen andere resultaten hebben.

Praat altijd met een arts voordat u beslissingen neemt over gezondheidszorg of als u vragen heeft over deze onderzoeksresultaten.

Dank aan iedereen die heeft deelgenomen aan dit klinisch onderzoek.

Waar kan ik meer informatie over dit onderzoek vinden?

Als u aan dit onderzoek heeft deelgenomen en u vragen heeft over de resultaten van dit onderzoek, neemt u contact op met de arts of het personeel van uw onderzoekscentrum.

U kunt meer informatie over dit onderzoek vinden op de volgende website:

- www.toetsingonline.nl/to/ccmo-search.nsf/Searchform?OpenForm Gebruik het dossiernummer NL74376.029.20

Houd er rekening mee dat de informatie op de website mogelijk op een andere manier wordt weergegeven dan in deze samenvatting.

Volledige titel van het onderzoek: Een prospectief onderzoek op meerdere onderzoekslocaties ter identificatie van biomarkersignaturen om pulmonale hypertensie (PH) vroegtijdig op te sporen - CIPHER

Nummer van het onderzoek (protocolnummer): NAPUH0001

Andere identificatiecodes: NCT04193046, CIPHER, CR108723

Datum van deze samenvatting: 15 juli 2024

Opdrachtgever:

Bedrijf van de opdrachtgever	Landen/gebieden
Janssen Pharmaceutica NV	België
Janssen Research & Development	Frankrijk
Janssen-Cilag GmbH	Duitsland
Janssen-Cilag B.V.	Nederland
Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.ul.	Polen
Janssen-Cilag SA.	Spanje
Representative office of Janssen Pharmaceutica NV	Oekraïne
Janssen Research & Development (onderdeel van Janssen-Cilag Limited)	Verenigd Koninkrijk
Janssen Research & Development, L.L.C.	Verenigde Staten

Contactinformatie van de opdrachtgever: PLS-Admin@its.jnj.com

Deze samenvatting van klinische onderzoeksresultaten in begrijpelijke taal is de enige versie die door de opdrachtgever is goedgekeurd.

Dit document is voor uw persoonlijke informatie. De opdrachtgever geeft geen enkel recht om informatie in deze samenvatting in begrijpelijke taal te gebruiken voor welke andere doeleinden dan ook, zoals het plaatsen of bespreken ervan op sociale media, in verband met onderzoeks- en/of ontwikkelingsprogramma's of voor het leveren van goederen of diensten. Dit document bevat niet voldoende informatie om aan een gezondheidsautoriteit te worden voorgelegd. U mag deze informatie voor geen enkel wettelijk doel gebruiken, met inbegrip van het verstrekken van informatie aan een regelgevende instantie waar ook ter wereld die een autorisatie van welke aard dan ook voor gezondheidsproducten vraagt.