



## Nieuwsbrief nummer 2, januari 2019

### Sirolimus studie

*'Treatment of congenital vascular malformations using Sirolimus: improving quality of Life'*

Behandeling van congenitale vasculaire malformaties met Sirolimus: verbetering van kwaliteit van Leven

### Voorwoord

Graag informeren wij u over de status van de Sirolimus studie, een onderzoek van de HECOVAN werkgroep binnen het Radboudumc.

In deze tweede nieuwsbrief geven wij u achtergrond informatie over de status van het onderzoek, het doel van het onderzoek en een korte uitleg over de stand van zaken.

De komende tijd zal er regelmatig een update verschijnen op deze website, we houden u op de hoogte van de laatste stand van zaken.

Indien u meer informatie wilt over het onderzoek, kunt u contact opnemen met ons via het Email adres: [werkgroep@hecovan.nl](mailto:werkgroep@hecovan.nl) of het centrale telefoonnummer: 024-36 13131.

Namens de HECOVAN werkgroep,

Hoofdonderzoeker: dr. Maroeska te Loo  
Promovendus: Drs. Veroniek Harbers  
Research verpleegkundige: Ingrid van Rijnsoever

### Algemene informatie Sirolimus

Sirolimus is een geneesmiddel dat normaal gesproken wordt voorgeschreven aan patiënten met een niertransplantatie en ook voor die indicatie is geregistreerd. Uit recent onderzoek is gebleken dat Sirolimus niet alleen het immuunsysteem beïnvloedt maar ook van invloed is op de vaten.

Gebaseerd op dit recente onderzoek en de nieuwe inzichten t.a.v. de werking van Sirolimus is deze nationale studie opgezet. Er is ruimte om 75 patiënten te kunnen includeren, de inclusieperiode duurt tot en met augustus 2020.

De behandeling met Sirolimus is bedoeld voor die patiënten waarvoor geen goede, andere behandeloptie (meer) mogelijk is.

Auteur: I. van Rijnsoever  
Beheer: I. van Rijnsoever  
Autorisatie: Dr. D.M. te Loo  
Opsteldatum: 24-1-2019  
Datum laatste wijziging: 24/1/2019  
Printdatum:

**Radboudumc**  
**HECOVAN**

Bestand: patienteninformatie voor website hecovan  
nieuwsbrief 2 jan 2019.docx  
Vindplaats:

Versie: 1

Pagina:



## Doel van het onderzoek

### Hoofddoel van het onderzoek

- Verminderen van pijnklachten waardoor significante verbetering van kwaliteit van leven en normaal functioneren mogelijk is (normale dagelijkse activiteiten inclusief school of werk zonder hinderlijke pijn)

### Subdoelen van het onderzoek

- Tijdsbestek pijnvermindering en duur behandeling voor adequate pijnstilling
- Terugkomen van pijnklachten na stoppen pijnklachten
- Vermindering van de omvang van de vaatmalformatie
- Vermindering van infectieuze problematiek met name bij de lymfatische malformaties
- Analyse genetische defecten (afwijkingen in het DNA)
- Kosteneffectieve behandeling

## Korte uitleg van het onderzoek

De behandelfase met Sirolimus betreft zes maanden, hierna volgt een follow up periode van één jaar zonder Sirolimus. In totaal duurt het onderzoek 18 maanden per persoon.

Er wordt door patiënten gedurende de hele studie dagelijks een pijnscore bijgehouden, de zogenaamde VAS, visual analoge scale. Zo krijgen wij een goed beeld van de pijnbeleving zonder gebruik van Sirolimus.

Bij kinderen van 0-4 jaar wordt de ouders gevraagd de comfort scale in te vullen, bij kinderen van 4-7 jaar worden gebruik gemaakt van de gezichtsplaatjes en bij de kinderen vanaf 7 jaar en de volwassenen wordt de 0-10 schaal gebruikt om de pijnscore te bepalen.

Tevens wordt er een MRI scan gemaakt en een kwaliteit van leven vragenlijst wordt ingevuld als uitgangswaarde. Als bloedwaarden ( o.a. lever- en nierfunctie, glucose) normaal zijn, gaat de behandeling voor zes maanden met Sirolimus starten. Tijdens deze zes maanden controleren wij eerst wekelijks en hierna bij stabiele waarden, maandelijks het bloed. We kijken ook of de bloedspiegel van de Sirolimus goed is. In het begin zijn er frequente controles in het ziekenhuis komen.

Na 6 maanden stop de behandeling met Sirolimus en wordt er opnieuw een MRI scan gemaakt om te kijken of de vaatmalformatie veranderd is van grootte. Ook wordt er weer een kwaliteit van levensvragenlijst ingevuld.

Hierna volgt de follow up periode van een jaar.

In deze periode zijn er minder controles in het ziekenhuis en is er maandelijks telefonisch contact. Aan het einde van deze follow up periode wordt er nogmaals een kwaliteit van levensvragenlijst ingevuld.



### Herstarten van Sirolimus

Indien de pijnklachten of andere klachten van de vaatmalformatie (bijvoorbeeld ontstekingen of lekkage) terugkomen na het stoppen van de Sirolimus, kan het herstarten van de Sirolimus worden overwogen door uw arts op voorwaarde dat u goed op het medicijn heeft gereageerd in de eerste zes maanden.

### Stand van zaken

Inmiddels doen in totaal 30 patiënten mee aan dit onderzoek, daarvan zijn 17 kinderen en 13 volwassenen. Van deze patiënten hebben 11 een veneuze vaatmalformatie, 14 een lymfatische malformatie en 5 gecombineerde (2 venolymfatische malformatie, 3 Klippel-Trenauney). Een aantal van deze patiënten zitten nog in de eerste fase van het onderzoek, een aantal in de controle fase (follow-up) en een kleiner aantal patiënten zijn weer herstart met Sirolimus in de tweede fase.

Momenteel zijn we alle data aan het invoeren in de database. Hierna gaan we alle data van de eerste 25 patiënten analyseren. We kijken hoeveel patiënten pijn of klachtenvermindering hebben en hoe groot het effect van Sirolimus op de klachten is. Tevens kijken we wat het effect van Sirolimus is op de kwaliteit van leven, door de ingevulde kwaliteit van leven vragenlijsten te analyseren.

De MRI voor de behandeling met Sirolimus zal worden vergeleken met de MRI na de behandeling.

Het volume van de vaatmalformatie zal nauwkeurig worden opgemeten.

Uiteraard kijken we ook naar de eventuele bijwerkingen die opgetreden zijn tijdens het gebruik van Sirolimus.