



prinses  
máxima  
centrum

# Wetenschappelijk onderzoek

naar behandelingen en medicijnen



# Inleiding

De behandeling van kinderen met kanker gebeurt meestal in combinatie met wetenschappelijk onderzoek. De meeste kinderen worden behandeld volgens een protocol dat is opgesteld door nationale en internationale deskundigen. Bijna elk protocol bevat, naast richtlijnen voor de behandeling, ook een onderzoeksdeel. Daarnaast doen we in het Prinses Máxima Centrum nog meer wetenschappelijk onderzoek om diagnostiek en behandeling steeds verder te verbeteren. We onderzoeken bijvoorbeeld of het ene medicijn beter werkt dan het andere, of welke combinatie van behandelingen het beste is. Dit wetenschappelijk onderzoek naar nieuwe behandelingen en medicijnen noemen we in deze folder klinisch onderzoek.

# Wat is een klinisch onderzoek?

Klinisch onderzoek is medisch wetenschappelijk onderzoek met mensen naar ziekte en behandeling en naar werking en bijwerkingen van behandeling. Het is de laatste stap in een lang proces dat begint met onderzoek in het laboratorium. Klinisch onderzoek is onmisbaar bij het ontwikkelen van betere diagnostiek en behandeling. De meeste behandelingen die kinderen met kanker nu krijgen, zijn er dankzij klinisch onderzoek uit het verleden en klinisch onderzoek bij volwassenen.

Heb je vragen? Stel ze gerust aan je behandelend arts, de onderzoekarts of de (research)verpleegkundige.

## Voorbeelden van klinisch onderzoek zijn:

- onderzoek naar nieuwe medicijnen
- het vergelijken van een bestaande behandeling met een andere behandeling
- onderzoek naar bijwerkingen

Meedoen aan klinisch onderzoek is vrijwillig. We vragen jou en je kind (als het ouder dan 12 jaar is) altijd om toestemming. Als jij of je kind niet mee wil doen, krijgt je kind de beste behandeling die er op dat moment is.

# Waarom is klinisch onderzoek belangrijk?

Dankzij klinisch onderzoek kan de behandeling van alle vormen van kinderkanker verder verbeterd en veiliger worden: meer kinderen genezen met minder bijwerkingen en minder gevolgen voor hun gezondheid op de lange termijn.



Er zijn vier stappen in klinisch onderzoek nodig om tot een nieuwe behandeling te komen. Die stappen heten fasen. Soms gaat aan die fasen nog een fase 0 vooraf.

## Fase 0: Zou de behandeling kunnen werken?

In fase 0 onderzoek geven we een heel kleine hoeveelheid medicijn om bloedspiegels te bepalen. De hoeveelheid is zo klein dat het medicijn geen werking of bijwerkingen heeft. Aan de hand van de verkregen gegevens rekenen we met een computermodel uit hoeveel van het medicijn nodig is voor een werkzame dosis. Fase 0 onderzoek wordt niet vaak gedaan en gaat altijd om kleine aantallen mensen.

## Fase I: Is de behandeling veilig?

In fase I onderzoek geven we een mogelijke nieuwe behandeling of medicijn voor het eerst aan (zieke) mensen. Dit is om de veiligste dosis en mogelijke bijwerkingen te vinden. Fase I onderzoek gebeurt meestal bij kleine groepen mensen voor wie er geen standaard behandeling is of bij wie de standaardbehandeling onvoldoende helpt. Het is niet zeker of de behandeling effect zal hebben. Een nieuwe behandeling of een nieuw medicijn wordt meestal eerst bij volwassenen onderzocht; pas daarna volgt onderzoek bij kinderen.

## Fase II: Werkt de behandeling?

In fase II onderzoek wordt de werkzaamheid en veiligheid van een nieuwe behandeling met de dosis die is gevonden in fase I onderzocht. Het gaat ook hier om een kleine groep mensen.

## Fase III: Werkt de behandeling beter dan de bestaande behandeling?

Met fase III onderzoek wordt vastgesteld of een nieuwe behandeling beter is dan de bestaande standaardbehandeling. Een fase III onderzoek gebeurt bij grotere groepen mensen en duurt veel langer dan fase I of II onderzoek.

## Fase IV: Is de behandeling ook in de praktijk veilig en effectief?

Fase IV onderzoek kijkt naar de veiligheid, werkzaamheid en bijwerkingen op de (zeer) lange termijn van een medicijn nadat het is goedgekeurd en geregistreerd. Dit gebeurt bij nog grotere groepen in de dagelijkse praktijk.

**\*Je behandelend arts kan je vertellen in welke fase het onderzoek valt dat je kind krijgt aangeboden.**

# Belangrijk om van tevoren te weten

## Kan iedereen meedoen aan een klinisch onderzoek?

Nee. Om te beginnen moet je kind de vorm van kanker hebben waarnaar onderzoek wordt gedaan. Verder beschrijft het onderzoeksplan precies wie aan het onderzoek mag deelnemen (inclusiecriteria) en wie niet (exclusiecriteria). Aan de hand van de medische gegevens bekijkt de arts of je kind mee kan doen. Vaak is er ook nog een screening nodig waarbij je kind extra onderzoeken krijgt, bijvoorbeeld een echo van het hart of een nierfunctieonderzoek. Soms kunnen alleen kinderen van een bepaalde leeftijd of met een bepaald stadium van de ziekte meedoen.

## Krijgt ieder kind in een klinisch onderzoek dezelfde behandeling?

Niet altijd. Bij veel klinisch onderzoek wordt er gerandomiseerd, dat wil zeggen dat er via

loting twee of meer groepen gemaakt. De ene groep krijgt de standaardbehandeling, de andere groep(en) krijgt/krijgen een andere behandeling, bijvoorbeeld de standaardbehandeling met een nieuw medicijn erbij. Omdat er geloot wordt in welke groep je kind komt, zijn de resultaten van het onderzoek betrouwbaar. Soms wordt een gerandomiseerd onderzoek eerder gestopt, bijvoorbeeld als blijkt dat de ene groep veel beter reageert dan de andere groep. Dan krijgen alle kinderen de betere behandeling.

## Is meedoen aan een klinisch onderzoek veilig?

Iemand die deelneemt aan een klinisch onderzoek wordt goed in de gaten gehouden. Veiligheid gaat boven alles. Je arts legt jullie de mogelijke risico's, voordelen en nadelen van deelname aan het onderzoek uit. Als er twijfel is over

de veiligheid of het gewenste effect van de behandeling voor je kind, dan kan het onderzoek eerder gestopt worden. Je kind krijgt vanaf dan de best beschikbare behandeling.

## Welke informatie krijg je?

De arts of (research)verpleegkundige vertelt jullie alles over het klinische onderzoek. Je krijgt de informatie ook in een zogenoemd patiënt-informatieformulier (PIF). Daarin staan de aanleiding en het doel van het onderzoek en hoe het onderzoek wordt uitgevoerd (behandelschema). Ook staat erin wat de risico's en bijwerkingen kunnen zijn en hoe er met de gegevens van je kind wordt

omgegaan. Natuurlijk mag je altijd vragen stellen.

## Wat gebeurt er met de gegevens van je kind?

Volgens de Wet Bescherming Persoonsgegevens moeten de gegevens van je kind die tijdens het onderzoek verzameld worden geheim blijven. Daarom bewaren wij de gegevens gecodeerd. Er zijn maar een paar mensen die ze kunnen inzien. Wie dat zijn, staat in de PIF. Zij gebruiken de gegevens alleen voor het onderzoek en publiceren de onderzoeksresultaten zonder de namen van de deelnemers te noemen.



## Voordelen van meedoen

---

Als er nog geen standaard-behandeling (meer) is, kan je kind toch een behandeling krijgen.

---

Bij vergelijking van de standaardbehandeling met een nieuwe behandeling, kan je kind baat hebben bij een nieuwe behandeling.

---

Als de nieuwe behandeling je kind niet helpt, kunnen de uitkomsten van het onderzoek misschien wel andere kinderen met dezelfde ziekte helpen zodat behandelingen in de toekomst beter worden.

## Nadelen van meedoen

---

Je kind moet misschien vaker naar het ziekenhuis.

---

Je kind krijgt misschien meer onderzoeken.

---

Je kind moet zich misschien aan bepaalde regels houden.

---

Het kan zijn dat de nieuwe behandeling toch niet beter is.

---

Nieuwe medicijnen zijn er soms nog niet in een kindvriendelijke vorm zijn, bijv. als drankje.

---

Je kind kan onverwachte bijwerkingen krijgen. Natuurlijk word het goed in de gaten gehouden.

## Wat je kan helpen bij het afwegen

Als je kind kan meedoen aan een fase 1 / fase 2 onderzoek, dan sta je voor een moeilijke keuze. Wat is het beste voor je kind? Om je te helpen, heeft de Vereniging Kinderkanker Nederland op haar website een aantal tips en vragen die je jezelf of de arts kunt stellen ([www.kinderkankernederland.nl/meedoen-of-niet](http://www.kinderkankernederland.nl/meedoen-of-niet)).



# Meedoen of niet?

## Bedenktijd

Nadat je, samen met je kind als het oud genoeg is, de PIF hebt gelezen en al jullie vragen zijn beantwoord, krijg je altijd voldoende tijd om te bedenken of je je kind mee wil laten doen. Meedoen is vrijwillig. Het is jullie beslissing.

## Als je mee wilt doen

Om mee te kunnen doen, moet je het toestemmingsformulier ondertekenen. Vanaf 12 jaar geeft je kind ook toestemming. Vanaf 16 jaar ondertekent je kind zelf. Door te tekenen laat je weten dat je begrijpt wat het onderzoek inhoudt en dat je akkoord gaat met deelname.

## Als je niet mee wilt doen

Als je niet mee wilt doen, hoef je niets te tekenen. Je hoeft ook niet uit te leggen waarom je niet mee wilt doen. Je kind krijgt dan de best beschikbare behandeling.

## Als je niet meer mee wilt doen

Je kunt op elk moment met een klinisch onderzoek stoppen, ook als je al getekend hebt. Je hoeft hiervoor geen reden te geven. Je kind krijgt vanaf dat moment de best beschikbare behandeling.

# Overige informatie

## Hoeveel kinderen doen mee aan een klinisch onderzoek?

In het onderzoeksplan staat hoeveel kinderen er mee moeten doen om de onderzoeksvragen goed te beantwoorden. Dit is voor elk klinisch onderzoek anders. Kinderkanker is erg zeldzaam. Om voldoende deelnemers te hebben, wordt klinisch onderzoek daarom meestal in meerdere landen tegelijk gedaan.

## Hoe lang duurt een klinisch onderzoek?

De duur hangt af van het soort klinisch onderzoek en het aantal kinderen dat nodig is om de onderzoeksvragen te kunnen beantwoorden. Fase I en II onderzoek duurt meestal één tot twee jaar. Fase III onderzoek kan vijf jaar of zelfs langer duren. Dat komt door de lange periode van nacontroles. Je kind neemt deel zo lang zijn behandeling of zijn behandeling plus nacontroles duurt.



### Wie is verantwoordelijk voor het uitvoeren van het klinische onderzoek?

Klinisch onderzoek bij kinderen met kanker gebeurt vaak in internationaal verband. In het onderzoeksplan staat welk kinderoncologisch centrum verantwoordelijk is; dit noemen we in Nederland de 'verrichter'. Soms is een farmaceutisch bedrijf verantwoordelijk. In het onderzoeksplan staat ook wie het onderzoek financiert.

### Waar wordt klinisch onderzoek gedaan?

In Nederland worden bijna alle klinische onderzoeken in, of in samenwerking met, het Prinses Máxima Centrum gedaan. Soms is een Shared Care ziekenhuis bij het onderzoek betrokken.

### Welke gegevens worden verzameld?

Er worden altijd algemene gegevens verzameld over de ziekte en behandeling, zoals laboratoriumuitslagen, foto's en scans. In de PIF staat beschreven welke gegevens precies verzameld worden.

### Hoe lang en hoe worden de gegevens bewaard?

De gegevens worden meestal 25 jaar bewaard omdat ze na jaren nog van belang kunnen zijn. Het bewaren gebeurt digitaal, soms op papier, en altijd in gecodeerde vorm.

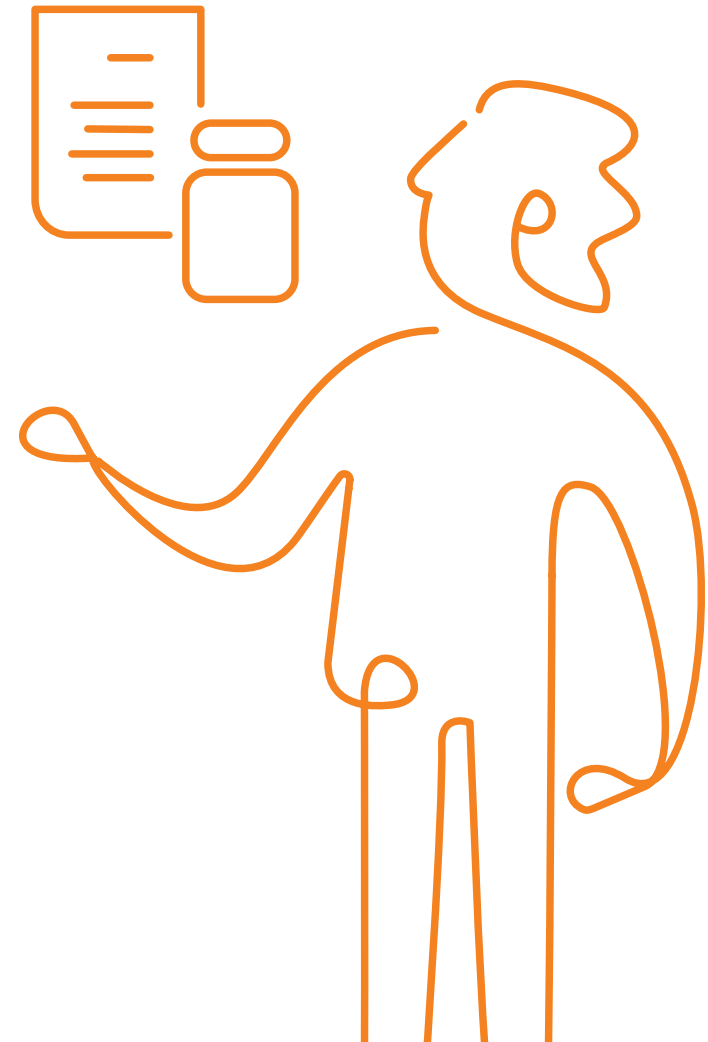
### Hoe wordt klinisch onderzoek getoetst?

Klinisch onderzoek wordt vooraf beoordeeld door een medisch ethische toetsingscommissie (METC). Pas na goedkeuring van de METC mag het onderzoek van start gaan. In de PIF staat welke METC het onderzoek heeft beoordeeld. Voordat een onderzoek wordt ingediend bij een METC, wordt het eerst door de wetenschapscommissie van het Máxima beoordeeld.

Daarnaast werkt de Vereniging Kinderkanker Nederland nauw samen met verschillende deskundigen die zich in het Máxima bezig houden met klinisch onderzoek en blijft zo op de hoogte van wat er speelt, denkt mee en behartigt de belangen van kinderen en ouders.

### Wie houdt toezicht op de uitvoering?

Al het klinisch onderzoek gebeurt volgens de strenge regels van de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO).





# Resultaten van het klinische onderzoek

## Wanneer zijn de resultaten van klinisch onderzoek bekend?

Bij fase 3 onderzoek kunnen de resultaten pas uitgewerkt worden nadat alle kinderen de behandeling hebben afgerond en de nacontroles achter de rug hebben. Het duurt daarom een paar jaar voordat de resultaten bekend zijn en gepubliceerd kunnen worden. Ook bij fase 1 en 2 onderzoek kan dit enkele jaren duren.

## Kun je de resultaten inzien?

Als na een gerandomiseerd onderzoek alle resultaten bekend zijn, hoor je van de behandelend arts in welke groep je kind heeft gezeten, tenzij je dat al eerder wist. Het is nog niet gebruikelijk dat de onderzoeksresultaten met de deelnemers worden gedeeld. Wil je deze inzien, vraag dan je arts om een samenvatting. Als een onderzoek voortijdig wordt

afgebroken, wordt wel beoordeeld of de deelnemers geïnformeerd moeten worden.

De resultaten van klinische onderzoeken worden, zonder dat deelnemers bij naam worden genoemd, gepubliceerd in medisch wetenschappelijke tijdschriften. Deze zijn voor mensen die geen arts/onderzoeker zijn niet altijd makkelijk te begrijpen. Op [www.trialregister.nl](http://www.trialregister.nl), [www.clinicaltrialsregister.eu](http://www.clinicaltrialsregister.eu) en [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) vind je overzichten van afgeronde en lopende klinische onderzoeken.

## Ander wetenschappelijk onderzoek

In het Prinses Máxima Centrum doen we nog veel meer onderzoek, bijvoorbeeld naar kwaliteit van leven, maar ook naar kwaliteit van zorg. We willen niet alleen kinderen genezen, maar ook dat zij en hun

gezin tijdens en na de behandeling zo gewoon mogelijk kunnen leven. Daar kan onderzoek bij helpen. Al het onderzoek dat wij doen wordt eerst door de METC beoordeeld en, net als bij klinisch

onderzoek, onderteken je een toestemmingsformulier als je wil meedoen. Meedoen aan dit onderzoek is ook altijd vrijwillig. Niet meedoen heeft geen invloed op de behandeling van je kind.

**Het Máxima, maar ook de Vereniging Kinderkanker Nederland, deelt regelmatig onderzoeksresultaten via de nieuwsbrief en sociale media. Op het researchdeel van de website van het Máxima vind je Engelstalige informatie.**



