

# Klinisch onderzoek bij kinderen en jongeren met kanker

wat is het en hoe werkt het?





### Idee en concept

Deze brochure is gebaseerd op 'A guide to clinical trials - for young people with cancer and their parents', een uitgave van CCI, SIOP Europe en ENCCA, gefinancierd door de EU in het kader van het Seventh Framework (HEALTH-F2-2011-261474).



De behandeling van kinderen en jongeren met kanker vindt meestal plaats in combinatie met een klinisch onderzoek. We noemen dit ook wel een klinische studie. In deze brochure leggen we uit wat klinisch onderzoek is. Heb je vragen? Dan kan je deze altijd aan je behandelend arts, de (research)-verpleegkundige of iemand anders van het team stellen.

### Wat is een klinisch onderzoek?

Klinisch onderzoek is een medisch (wetenschappelijk) onderzoek met mensen naar ziekte, behandeling en effecten van behandeling. Het is de laatste stap in een lang proces dat begint met onderzoek in het laboratorium. Klinisch onderzoek is onmisbaar voor het ontwikkelen van betere diagnostiek en behandeling. De meeste behandelingen die we nu aan kinderen met kanker geven, komen voort uit de resultaten van klinisch onderzoek uit het verleden.

#### Voorbeelden van klinisch onderzoek zijn:

- ✓ onderzoek naar nieuwe medicijnen,
- ✓ een (standaard)behandeling met een andere behandeling vergelijken,
- ✓ kwaliteit van leven meten aan de hand van vragenlijsten.





Er zijn vier stappen in klinisch onderzoek nodig om tot een nieuwe behandeling te komen. Die stappen heten fasen.

**Fase I:**  
**Is de behandeling veilig?**

In fase-I-onderzoek geven we mogelijke nieuwe behandelingen of een nieuwe medicijn voor het eerst aan (zieke) mensen. Het onderzoek helpt de veiligste dosis te vinden en mogelijke bijwerkingen te ontdekken. Fase-I-onderzoek is meestal voor kleine groepen patiënten voor wie geen standaard behandeling is. Bij een fase-I-onderzoek is geen zekerheid over het effect op de ziekte te geven. Een nieuwe behandeling of medicijn wordt meestal eerst getest bij volwassenen voordat deze aan kinderen wordt aangeboden.

**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?**

In een fase-III-onderzoek wordt vastgesteld of een nieuwe behandeling beter is dan de bestaande standaardbehandeling. Een fase-III-onderzoek gebeurt bij grotere groepen mensen, duurt veel langer dan fase-I en II-onderzoek en loopt vaak in meerdere landen.

**Fase IV:**  
**Is de behandeling ook in de dagelijkse 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.

**Waarom is klinisch onderzoek belangrijk?**

Dankzij klinisch onderzoek zijn de overlevingskansen van kinderen met kanker de laatste tientallen jaren toegenomen. De behandeling van alle vormen van kinderkanker kan verder worden verbeterd en veiliger gemaakt worden: meer kinderen genezen met minder bijwerkingen en minder late gevolgen.

**Belangrijk om van tevoren te weten**

**Kan iedereen deelnemen aan een klinisch onderzoek?**

Nee. Om te beginnen moet je de vorm van kanker hebben waarnaar onderzoek wordt gedaan. Verder beschrijft het onderzoeksplan precies wie aan de studie mag deelnemen (inclusiecriteria) en wie niet (exclusiecriteria). Of je in aanmerking komt voor deelname bekijkt de arts. Vaak is daarna ook nog een screening nodig. Soms kunnen bijvoorbeeld alleen kinderen van een bepaalde leeftijd of met een bepaald stadium van de ziekte meedoen.

**Krijgt iedereen in een klinisch onderzoek dezelfde behandeling?**

Nee, niet altijd. Meestal gaat het om gerandomiseerd onderzoek waarbij je door loting in twee groepen wordt verdeeld. In elke groep zitten evenveel kinderen. Eén groep krijgt de standaardbehandeling, de andere groep krijgt bijvoorbeeld de standaard behandeling met een nieuw medicijn erbij. Jij, je arts of je ouders kunnen niet bepalen in welke groep je terecht komt. Hierdoor zijn de resultaten van het onderzoek betrouwbaar. Een gerandomiseerd onderzoek kan eerder worden gestopt, bijvoorbeeld als blijkt dat de ene groep beter reageert dan de andere groep. Vanaf dan krijgen alle kinderen die behandeling.

**Is meedoen aan een klinisch onderzoek veilig?**

Iemand die deelneemt aan een klinisch onderzoek wordt goed in de gaten gehouden. Veiligheid staat boven alles. Je arts legt jou en je ouders de mogelijke risico's, voordelen en nadelen uit van deelname aan het onderzoek. Wanneer er twijfel is over de veiligheid of over het gewenste effect van de behandeling, kan het zijn dat het onderzoek bij jou wordt gestopt. Je krijgt vanaf dan de best beschikbare behandeling.



### Welke informatie krijg je?

Je arts of (research)verpleegkundige legt jou en je ouders alles uit over het klinische onderzoek. Je krijgt de informatie ook in een zogenaamd patiëntinformatieformulier (PIF). Daarin lees je wat de aanleiding en het doel van het onderzoek is en hoe deze wordt uitgevoerd (behandelschema). Ook staat erin wat de risico's en bijwerkingen kunnen zijn en hoe er met je gegevens wordt omgegaan. Natuurlijk heb je alle gelegenheid om vragen te stellen.

### Wat gebeurt er met je gegevens?

Volgens de Wet Bescherming Persoonsgegevens blijven jouw gegevens die tijdens het klinische onderzoek verzameld worden geheim. Ze worden met een code op papier of digitaal bewaard. Er zijn slechts enkele mensen die ze mogen inzien. Wie dat zijn, staat in de PIF. Zij gebruiken je gegevens uitsluitend voor het onderzoek en publiceren deze anoniem.

### Zijn er voordelen van deelname?

- + Als er geen standaard behandeling is, kun je een nieuwe behandeling krijgen die alleen beschikbaar is in combinatie met een klinisch onderzoek.
- + Als de standaardbehandeling wordt vergeleken met een nieuwe behandeling kan het zijn dat jouw ziekte daar goed op reageert.
- + Als het jou niet helpt, kan het misschien wel andere kinderen met dezelfde ziekte helpen. Daarmee worden behandelingen in de toekomst beter.

### Zijn er nadelen van deelname?

- Je moet misschien vaker naar het ziekenhuis.
- Je krijgt misschien meer onderzoeken.
- Je moet je misschien aan bepaalde regels houden.
- Het kan zijn dat de nieuwe behandeling toch niet beter is.
- Als het om nieuwe medicijnen gaat, kan het zijn dat deze er nog niet in een kindvriendelijke vorm zijn, bijv. als drankje.
- Je kunt bijwerkingen krijgen die jij en je arts niet verwachten. Natuurlijk word je goed in de gaten gehouden.



### Meedoen of niet?

#### Bedenktijd

Nadat jij en je ouders de PIF hebben gelezen en al jullie vragen zijn gesteld en beantwoord, krijgen jullie tijd om te bedenken of je wil meedoen. Deelname is helemaal vrijwillig. Je beslist zelf of je mee wil doen of niet. Meestal heb je minstens 24 uur om te beslissen.

#### Als je wil deelnemen

Om te kunnen deelnemen moet(en) jij en/of je ouders het toestemmingsformulier ondertekenen. Vanaf 12 jaar moet je in elk geval ook zelf toestemming geven. Hiermee geef je aan dat je begrijpt wat het onderzoek inhoudt en dat je akkoord gaat met deelname.

#### Als je niet wil deelnemen

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

#### Als je niet meer mee wil doen

Je kunt op elk moment met een klinisch onderzoek stoppen. Ook als je al getekend hebt. Je hoeft hiervoor geen reden te geven. Vanaf dan krijg je de best beschikbare behandeling.

## Overige informatie

### Hoeveel kinderen zijn er nodig?

In het onderzoeksplan staat hoeveel kinderen er nodig zijn om de onderzoeksvragen goed te beantwoorden. Het aantal hangt af van het soort klinisch onderzoek. Omdat kanker bij kinderen zeldzaam is, wordt veel klinisch onderzoek in internationaal verband gedaan zodat er sneller voldoende deelnemers zijn.

### 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. Binnen een klinisch onderzoek kan de duur van de behandeling voor individuele kinderen verschillen.



## Ontwikkeling van een nieuw medicijn



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

Klinisch onderzoek bij kinderen met kanker vindt vaak in internationaal verband plaats. Voor elk klinisch onderzoek staat in het onderzoeksplan welk universitair kinderoncologisch centrum verantwoordelijk is. Heel soms is een farmaceutisch bedrijf verantwoordelijk.

### Waar vindt klinisch onderzoek plaats?

In Nederland worden fase-I en fase-II-onderzoeken slechts in enkele centra uitgevoerd en kinderen worden dus naar een van deze centra verwezen. Welk centrum dit is, hangt af van de diagnose. Fase-III-onderzoeken vinden in elk kinderoncologisch centrum plaats, meestal onder leiding van de Stichting Kinderoncologie Nederland (SKION).

### Welke gegevens worden verzameld?

Er worden altijd algemene gegevens verzameld over ziekte en behandeling. Deze algemene gegevens zijn bijvoorbeeld uitslagen van bloedonderzoek en foto's die gemaakt zijn. In de PIF staat beschreven welke gegevens verzameld worden.

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

De gegevens worden zeer lang bewaard, maar tenminste 15 jaar. Jaren na het klinische onderzoek kunnen deze namelijk nog belangrijk zijn. Het bewaren gebeurt digitaal en soms op papier, altijd in gecodeerde vorm.

### Hoe wordt klinisch onderzoek getoetst?

Klinisch onderzoek wordt vooraf beoordeeld door een toetsingscommissie. Pas na goedkeuring mag het onderzoek van start gaan. In de PIF staat welke commissie het onderzoek heeft beoordeeld.

De VOKK werkt nauw samen met de Taakgroep SKION-ONT die zich bezig houdt met vroeg-klinisch onderzoek (fase I en II) 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?

In Nederland zijn er strenge regels voor klinisch onderzoek. Deze staan in de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek.





### **Informatie & contact**

VOKK

Schouwstede 2b

3431 JB Nieuwegein

**t:** 030 2422944

**e:** [bureau@vokk.nl](mailto:bureau@vokk.nl)

**i:** [www.vokk.nl](http://www.vokk.nl)

© **VOKK, 2015**

Tekst: Francis te Nijenhuis, Anouk Nijenhuis, Marianne Naafs-Wilstra

In samenwerking met het trialbureau kinderoncologie Erasmus MC-Sophia

Deze uitgave is mogelijk dankzij financiële steun van de Stichting Weeshuis der Doopsgezinden