

‘Systematic Review’ naar behandeling van kinderen met Familiaire Hypercholesterolemie met statines

In de afgelopen 10 jaar zijn er verschillende onderzoeken gedaan naar behandeling van kinderen met Familiaire Hypercholesterolemie met statines. Door een ‘systematic review’ te schrijven willen wij een overzicht geven van de studies tot nu toe en waar mogelijk door meta-analyse de effectiviteit en veiligheid van statine therapie bij kinderen met Familiaire Hypercholesterolemie evalueren.

De PLUTO studie

Dit is een fase III, effectiviteits en veiligheidsonderzoek van rosuvastatine voor kinderen en adolescenten van 10 tot 18 jaar oud met heterozygote Familiaire Hypercholesterolemie. De eerste 12 weken is de studie dubbel blind gerandomiseerd en placebo gecontroleerd. Daarna is er een ‘open label’ vervolgperiode van 40 weken.

Achtergrond van het onderzoek:

Patiënten met Familiaire Hypercholesterolemie vertonen al op jonge leeftijd symptomen van hart en vaatziekten. Op de kinderleeftijd zijn er al functionele en morfologische afwijkingen van de vaatwanden aanwezig, dit uit zich in een verdikte intima-media dikte en een verminderde ‘flow mediated dilatation’. De aanbevolen therapie voor kinderen met Familiaire Hypercholesterolemie bestaat op dit moment uit voedingsadviezen en eventueel medicamenteuze behandeling met pravastatine. Hiermee worden echter de streefwaarden veelal niet behaald. In deze studie wordt de hypothese getest dat rosuvastatine een effectieve LDL-C daling tot gevolg heeft bij kinderen en adolescenten in de leeftijd van 10 tot 18 jaar met heterozygote Familiaire Hypercholesterolemie.

Onderzoeksopzet:

De kinderen zullen het centrum 12 keer bezoeken. Een visite duurt circa 20 minuten waarbij een laboratorium onderzoek en een kort lichamelijk onderzoek plaatsvindt en natuurlijk gevraagd wordt hoe het met de persoon gaat.

Onderzoekspopulatie:

Kinderen en adolescenten in de leeftijd van 10 tot 18 jaar met heterozygote Familiaire Hypercholesterolemie en de puberteit (Tanner stage II – V, vrouwen minimaal 1 jaar na eerste menstruatie).