

Vraag & antwoord

*Infomiddag
medicijnonderzoek
17 mei 2025*



cAPPricorn-1

Vragen over aanmelding

Wordt er gewacht tot er 48 mensen zijn om de studie te starten?

Nee, er hoeven niet eerst 48 mensen aangemeld te zijn. Het LUMC begint met een beperkt aantal screenings en bouwt de groep deelnemers langzaam op.

Wanneer begint de studie?

De studie cAPPricorn-1 is wereldwijd al gestart in 2024, maar in Nederland was er vertraging met de goedkeuring. In maart kregen we gelukkig toestemming. Het LUMC is op dit moment hard bezig met het samenstellen van een team en zal zo snel mogelijk beginnen.

Er zijn al mensen die zich hebben aangemeld. Wanneer krijgen zij een reactie?

Het onderzoeksteam zal antwoorden op de e-mails zodra ze meer weten over de startdatum van het onderzoek. Mensen die hun interesse hebben aangegeven via cappricornonderzoek_neur@lumc.nl krijgen dan een reactie.

Is het te laat om me nu nog aan te melden voor DNA onderzoek? De wachtlijst is lang.

De afdeling klinische genetica in het LUMC heeft contact met het onderzoeksteam. Als iemand zich aanmeldt voor DNA onderzoek om mee te kunnen doen aan het medicijnonderzoek, wordt overlegd of iemand genoeg tijd heeft om zich nog aan te melden voor het medicijnonderzoek, als de uitslag positief is. De wachtlijst voor DNA onderzoek is op dit moment vrij kort. We raden aan goed na te denken over genetisch testen om mee te kunnen doen aan medicijnonderzoek.

Psycholoog Sanneke van Rooden legt hier meer over uit in deze presentatie:

<https://youtu.be/RipBOpgDBak?si=ocYuAzWBB3NcgNgS>

Als mensen uitvallen, worden er dan weer nieuwe mensen toegevoegd?

Nee, de inschrijving sluit als er 152 mensen met sporadische CAA en maximaal 48 mensen met DCAA zijn toegelaten. Als iemand uitvalt, wordt die plek niet opnieuw ingevuld.

Hoe groot is de kans dat je mee kunt doen als je niet aan TRACK DCAA hebt deelgenomen?

Dat weten we niet precies. We weten niet hoeveel mensen uit het TRACK DCAA (AURORA PLUS)-onderzoek kiezen om mee te doen aan cAPPricorn-1.

Is de groep van 48 deelnemers alleen uit Nederland?

De 48 deelnemers met Dutchtype CAA zijn wereldwijd. In Australië kunnen bijvoorbeeld ook mensen meedoen.

Wanneer krijgen mensen die zich hebben opgegeven een reactie?

Als het team in het LUMC klaar is, kunnen de eerste screenings beginnen. Dit is hopelijk eind juni.

Als je een kinderwens hebt, kun je dan later meedoen?

Het is waarschijnlijk niet mogelijk om later mee te doen, omdat de aanmelding sluit als er 152 sCAA patiënten meedoen. Dit zal waarschijnlijk begin 2026 zijn.

Vragen over deelname en screening

Is er een maximale leeftijd om mee te doen?

Nee, er is geen maximale leeftijd. Er wordt wel gekeken naar scores op cognitieve testen en er zijn andere voorwaarden om mee te kunnen doen. Tijdens een screeningsdag wordt bekeken of u mee kunt doen.

Wordt het onderzoek vergoed door de zorgverzekeraar?

Deelname aan het onderzoek heeft niets te maken met uw zorgverzekering, Alnylam betaalt de kosten. Als deelnemer hoeft u dus niets zelf te betalen en valt u voor eventuele nodige zorg als gevolg van deelname onder de verzekering voor het onderzoek.

Is er een vaste dag voor de onderzoeken?

De dagen waarop u kunt deelnemen zijn verschillend en kunnen in overleg met het onderzoeksteam worden afgesproken.

Wat doet een studiepartner? Kunnen vragenlijsten ook online worden ingevuld?

De studiepartner geeft ook informatie over hoe het met de deelnemer gaat. Dit helpt om een goed beeld te krijgen van de (cognitieve) gezondheid van de deelnemer. De studiepartner ondersteunt daarnaast de deelnemer op onderzoeksdagen. Het onderzoeksteam mag beslissen of iemand geschikt is om een studiepartner te zijn. Als iemand zelfstandig kan meedoen, hoeft de studiepartner alleen aan 2 onderdelen bij te dragen. Eén moet face-to-face worden gedaan, de andere kan telefonisch.

Moet de studiepartner altijd dezelfde persoon zijn?

Voor betrouwbare resultaten is het het beste als dezelfde studiepartner altijd mee gaat.

Waar vindt het onderzoek plaats?

Het cAPPricorn onderzoek wordt gedaan in het LUMC, maar ook in Amsterdam en Nijmegen. Het LUMC is expertisecentrum voor DCAA.

Kan ik in de buurt overnachten als ik van ver weg kom?

Ja, deze kosten kunnen vergoed worden door het onderzoeksteam.

Wordt de ruggenprik door ervaren mensen gedaan?

Ja, het personeel dat een ruggenprik uitvoert is altijd ervaren in de handeling.

Wat als een deelnemer zwanger wordt tijdens het onderzoek?

Als u als vrouw zwanger wordt, kun u niet meer meedoen aan het onderzoek. Dit geldt ook voor mannen van wie de partner zwanger raakt. Een eventuele zwangerschap tijdens deelname aan de studie moet worden gemeld aan Alnylam, \ en er kunnen dan eventuele verdere onderzoeken gevraagd worden.

Waarom zijn er nu wel BMI-eisen en bij eerder onderzoek, zoals AURORA, niet?

Dit heeft te maken met de strenge regels voor medicijnonderzoek. In andere studies kon u soms kiezen om niet aan bepaalde onderdelen mee te doen. Voor dit onderzoek is het belangrijk dat iedereen aan alle onderdelen mee kan doen.

Kun je vanaf januari 2026 nog meedoen?

We weten niet wanneer het aantal aanmeldingen het maximum van 152 voor sCAA bereikt. Als dat vol is, kun u niet meer meedoen aan het DCAA onderzoek.

Zijn er beperkingen qua activiteiten, voeding of leefstijl tijdens het onderzoek?

De enige beperking is dat vrouwelijke deelnemers of partners van mannelijke deelnemers niet zwanger mogen worden tijdens de duur van de studie. Verder zijn er geen beperkingen.

Waarom is er uitsluiting bij verminderd denkvermogen?

Dit heeft te maken met de intensiteit van het medicijnonderzoek. Het is belangrijk dat mensen die mee willen doen, een onderzoeksdag ook aan kunnen. Daarom is er een grens gesteld aan hoe ver (D)CAA gevorderd mag zijn bij de mensen die mee willen doen.

Vragen over het onderzoek

Waarom mag je pas meedoen als je 30 jaar of ouder bent?

Uit eerdere onderzoeken is gebleken dat er onder de 30 jaar nog weinig veranderingen in de hersenen te zien zijn. Daarom is het minder zinvol om medicijnonderzoek te doen bij personen die jonger dan 30 jaar zijn. In die groep kan het effect van het middel op de eiwitstapeling niet goed worden onderzocht.

Welke MRI-scan wordt gebruikt? 7 of 3 Tesla?

Voor het onderzoek gebruiken we de 3T scanner. Dit is omdat het onderzoek wereldwijd hetzelfde moet zijn voor alle deelnemers en 7 Tesla MRI scanners nog zeldzaam zijn.

Waarom zijn er zo weinig mensen met DCAA in de studie?

Er zijn twee redenen:

1. We zijn een "subgroep". De meeste informatie moet komen van mensen met sporadische CAA, omdat deze groep groter is.
2. Deelnemers moeten hun genetische status weten. We weten dat een minderheid van de mensen die 50% kans hebben, zich laat testen en daarvan weer een minderheid meedoet aan onderzoek. Op basis daarvan is door Alnylam een inschatting gedaan.

Zijn er in Canada en Australië al veel mensen in de studie?

De Vereniging DCAA houdt regelmatig contact met Alnylam en het onderzoeksteam in het LUMC over het aantal aanmeldingen. Op dit moment zijn er nog maar 2 mensen met DCAA die zich in Australië hebben aangemeld.

Wat is de definitie van "effectief"?

Effectief betekent dat we kijken of in de helft van de 152 deelnemers die het medicijn krijgen, minder ziekteverschijnselen zijn dan in de helft die een placebo krijgt. Dit wordt statistisch berekend. Als blijkt dat een meerderheid van de mensen die Mivelsiran krijgt het bijvoorbeeld beter doet op de MRI of er minder giftig eiwit wordt gevonden in het hersenvocht, dan bij mensen die een placebo kregen, kan de conclusie worden getrokken dat het middel mogelijk de ziekte afremt. Daarna moet in fase 3 bij nog meer patiënten en gendragers gekeken worden of dat het geval is.

Worden er patient reported outcomes gemeten tijdens de studie?

PROMs (Patient Reported Outcome Measures) zijn vragenlijsten waarin wordt gevraagd hoe de patiënt zich voelt en hoe het met hem of haar gaat. PROMs meten de ervaren gezondheid en kwaliteit van leven van patiënten. Er zijn geen PROMs opgenomen in het huidige onderzoek. Het zou wel een mooie aanvulling zijn in toekomstig onderzoek.

Waarom moet er nog onderzocht worden als het in Amerika al goedgekeurd is?

Er is wereldwijd nog geen goedgekeurde behandeling voor sporadische en Dutchtype CAA. Het onderzoek naar Mivelsiran loopt ook in Amerika en Mivelsiran is dus nog nergens goedgekeurd voor behandeling van CAA. Het doel van dit onderzoek is juist de werking aan te tonen.

Is er een minimaal aantal deelnemers voor DCAA?

Nee, voor DCAA is er geen minimaal aantal deelnemers.

Waarom is het belangrijk dat de partners van mannelijke deelnemers niet zwanger worden?

Dit heeft te maken met de veiligheid in medicijnonderzoek. Het is nog niet duidelijk wat het medicijn voor invloed heeft op spermacellen en dus op ongeboren baby's.

Hoe wordt Mivelsiran toegediend?

Mivelsiran wordt via een ruggenprik toegediend. Dit is de enige manier om het medicijn in de hersenen te krijgen. Er wordt ook hersenvocht afgenomen tijdens de ruggenprik (lumpaalpunctie) om te kijken of het middel effect heeft op de hoeveelheid giftig eiwit (amyloïd beta) die daarin gevonden wordt.

Waarom is er een vragenlijst over depressie?

Alnylam moet onderzoeken hoe het medicijn het lichaam beïnvloedt, inclusief psychologisch welzijn, om een goed beeld te krijgen van alle effecten.

In eerdere studies was het problematisch dat als een deelnemer een bloeding kreeg tijdens de studie, het hele onderzoek stilgelegd moest worden. Is dat nu ook?

Als iemand een hersenbloeding krijgt, moet worden beoordeeld of dit een gevolg van het gebruik van Mivelsiran is of een gevolg van het normale ziektebeloop. Het onderzoeksteam moet daarover een beslissing maken. Als het vermoeden bestaat dat het om een ernstige bijwerking gaat, kan de studie stilgelegd worden.

Waar is de foto van het oog voor nodig?

Er zijn 2 verschillende dingen die met het oog te maken hebben. In cAPPricorn-1 wordt met een lampje in het oog gekeken. Dat is een standaard onderdeel van een uitgebreid onderzoek door de neuroloog.

Daarnaast wordt gekeken of er een foto van het oog wordt toegevoegd. Daarmee wordt onderzocht of dat inzicht geeft in de eiwitstapeling. Dit wordt mogelijk onderdeel van het medicijnonderzoek, maar misschien wel van toekomstig onderzoek.

Kun je meedoen aan de open label fase zonder aan het eerste deel, deel te nemen?

De open label fase is een verlenging van het onderzoek. Alnylam biedt alle deelnemers de kans om Mivelsiran te krijgen en verzamelt extra informatie over de effecten op langere termijn. Dat kan alleen als mensen de eerste 24 maanden ook hebben meegedaan.

Vragen over de toekomst

Kan het 10 jaar duren om 48 mensen met DCAA en 152 met sCAA te hebben voor de resultaten? Of kunnen er eerder conclusies worden getrokken?

Het zal geen 10 jaar duren. We verwachten dat er begin 2026 voldoende deelnemers zijn. Het onderzoek duurt dan 2 jaar, met een extra 1,5 jaar voor de open label fase. Na 2 jaar begint Alnylam met het analyseren van de resultaten om te beoordelen of Mivelsiran veilig is bij een grotere groep mensen en of er al effecten worden gezien.

Hoe lang duurt het, als alles goed gaat, voordat het medicijn beschikbaar komt voor algemeen gebruik?

Dat kunnen we niet precies zeggen. Het hele proces van medicijnonderzoek duurt meestal 8 tot 12 jaar. cAPPricorn-1 is een fase 2 onderzoek, en daarna moet er nog een fase 3 komen. Als daaruit blijkt dat het middel werkt en veilig is, moeten worden onderhandeld om het medicijn in Nederland beschikbaar te maken.

Is de 48 maanden doorlooptijd alleen voor fase 2 of voor het hele cAPPricorn-1 project? Wat is de totale doorlooptijd?

De doorlooptijd voor fase 2 met Mivelsiran is 48 maanden (30 maanden + 18 maanden open label extension). Er is nog geen informatie over een mogelijke fase 3 en hoe lang die zou duren.

Hoe vaak zal Mivelsiran toegediend moeten worden als het werkt en goedgekeurd wordt?

Dat weten we nog niet. De eerste resultaten uit fase 1 zijn positief en daaruit blijkt dat Mivelsiran meer dan een half jaar werkzaam in de hersenen. We moeten wachten op de resultaten van fase 2 om daar meer over te leren.

Hoe lang is de tijd tussen fase 2 en fase 3?

Op dit moment hebben we nog geen informatie over een eventuele fase 3. Dit hangt ook af van de resultaten van fase 2.

Kun je later meedoen aan het onderzoek als je nu onder de 30 bent?

We weten nog niet of er een vervolgonderzoek komt. Mocht dat zo zijn, dan is het waarschijnlijk mogelijk om later mee te doen, als u 30 jaar of ouder bent.

Als je momenteel onder de 30 bent. Kan je dan ooit deelnemen aan het onderzoek?

U kunt niet meedoen aan onderzoek onder de 30 jaar, omdat we vóór die leeftijd (te) weinig van de ziekte in de hersenen zien. Op zich is dat dus goed nieuws, maar we kunnen ons voorstellen dat mensen graag mee willen doen aan onderzoek. Aan dit medicijnonderzoek, cAPPricorn-1, is dat niet mogelijk, omdat er vrij weinig tijd is om u aan te melden, omdat de aanmelding sluit als er 152 mensen met sporadische CAA meedoen. Het kan wel goed zijn dat u kunt meedoen aan ander onderzoek in het LUMC, of in de toekomst mee kunt doen. Kijk ook eens op www.stopdekatwijkseziekte.nl voor meer informatie.

Als je niet bij de 48 deelnemers zit, wanneer kun je dan weer meedoen?

Als de 48 plekken vol zijn, kun u niet meer meedoen aan dit onderzoek. U kunt echter wel deelnemen aan ander onderzoek naar DCAA, zoals het Clear-Brain onderzoek.

Wat gebeurt er na de open label fase?

Dat weten we nog niet. Het kan zijn dat er een fase 3 komt waar mensen met DCAA aan kunnen deelnemen. We hopen dat het medicijn succesvol is en beschikbaar wordt voor iedereen, maar dat zal nog een aantal jaren duren.

Als je aan fase 2 hebt meegedaan, mag je dan nog meedoen aan fase 3?

Dat weten we op dit moment niet. We weten niet of er een fase 3 komt en wie daaraan zou mogen deelnemen.

Andere vragen

Waar staat CHA-poli voor?

De CHA-poli staat voor Cerebrale Hereditaire Angiopathieën poli. Hier wordt gespecialiseerde zorg geboden voor mensen met CADASIL, HCHWA-D (Katwijkse ziekte) en RVCL-S. Meer informatie vindt u hier:

<https://www.lumc.nl/afdelingen/neurologie/ziektes-en-aandoeningen/cerebrale-hereditaire-angiopathieen-cha/>

Hoe wordt de nieuwe naam Dutchtype CAA buiten Katwijk bekendgemaakt?

De naam Dutch type CAA wordt in alle media-uitingen door de Vereniging DCAA en het LUMC gebruikt, ook landelijk. Onderzoekers en artsen gebruiken deze naam al enkele jaren in publicaties en op congressen.

Hoeveel mensen zijn er nu met de Katwijkse ziekte, zowel in Nederland als wereldwijd?

We hebben geen precieze cijfers. Een schatting uit de jaren '90 was 300-400 personen, maar nu denken we dat dit aantal tussen de 500 en 1000 ligt, inclusief mensen die drager zijn zonder symptomen. In Australië is er één grote familie met ongeveer 200 personen met DCAA. We weten ook van families in bijvoorbeeld Spanje, Schotland, Zuid-Afrika en Amerika. Dat zijn nazaten van families met DCAA uit Katwijk.

Worden subsidies voor onderzoeken aan universiteiten in de VS beperkt, en is daar aandacht voor nodig?

Het onderzoek naar DCAA is niet afhankelijk van Amerikaanse subsidies. Het medicijnonderzoek wordt gefinancierd door een particulier Amerikaans bedrijf. Veel onderzoek wordt ook gefinancierd door Nederlandse organisaties zoals de Hersenstichting en Alzheimer Nederland. We hebben geen signalen dat het onderzoek negatief beïnvloed wordt door nieuw beleid in de VS.

Ook de verzamelde data van mensen die hebben meegedaan of meedoen aan DCAA onderzoek in Nederland, wordt in Nederland opgeslagen. We hoeven ons dus geen zorgen te maken dat die informatie eventueel verdwijnt.

Als we breder kijken, dan lift het onderzoek naar DCAA ook mee op het onderzoek naar sCAA. Een deel daarvan wordt in Amerika uitgevoerd, soms met een overheidssubsidie. We hebben op dit moment nog geen signalen dat dat onderzoek geraakt wordt door nieuw beleid, maar dit is uiteraard een mogelijkheid.

Wat is het Clear Brain onderzoek?

Het Clear Brain onderzoek, uitgevoerd in het LUMC, kijkt of het stimuleren van de slaap en de nervus vagus invloed heeft op het opruimsysteem van de hersenen. Meer informatie vindt u hier: <https://www.stopdekatwijkseziekte.nl/onderzoeken/clear-brain>

Krijg je uit eindelijk te horen of je het medicijn hebt gehad of het placebo?

Meestal krijg je aan het einde van een medicijnonderzoek te horen in welke groep je hebt gezeten. Dit wordt gedaan om zo ethisch mogelijk onderzoek te doen en transparant te zijn. Dat zal waarschijnlijk pas zijn als de studie wereldwijd is afgelopen. In de open label extension krijgt iedereen trouwen Mivelsiran.

Er zijn al mensen die zich hebben aangemeld via het emailadres. Is daar nu al zicht op?

Ja, het LUMC houdt het emailadres met aanmeldingen in de gaten. Als het team klaar is voor de eerste deelnemers, zullen zij contact opnemen met de personen die gemaild hebben.

Kan je een losse cognitieve test doen om te kijken of aanmelden wel nut heeft?

Er wordt geprobeerd de cognitieve test aan het begin van de screeningsdag te plannen, zodat mensen, als ze op basis van die scores niet mee kunnen doen, niet de hele screening hoeven te doorlopen.

Stel je doet mee aan cAPPricorn-1, krijgt na 2 maanden een bloeding, mag je we meedoen aan dist, of ben je daar dan van uitgesloten?

Als je meedoet met cAPPricorn-1, kun je niet met een ander wetenschappelijk onderzoek meedoen, ook niet met de DIST.

Je weet niet altijd of er een bloeding heeft plaats gevonden. Gaat het om de grootte?

Er wordt een onderscheid gemaakt tussen bloedingen waarvan de effecten goed zichtbaar zijn als “neurologische uitval”. Dat wordt door het LUMC onderzoeksteam bepaalt op basis van de MRI scan en van neurologisch onderzoek. Eventuele microbloedingen maken geen verschil voor het wel of niet mee kunnen doen aan het onderzoek.

Als je hersenbloedingen hebt gehad, kan je dan wel meedoen? Of is het als je weet dat je gendrager bent. En maakt het aantal bloedingen dan nog uit?

Je moet sowieso weten dat je gendrager bent om mee te kunnen doen. Daarnaast mag je in de afgelopen 90 dagen geen bloeding hebben gehad. Bloedingen die voor die 90 dagen hebben plaatsgevonden zijn geen probleem om mee te kunnen doen.

Ik wil graag weten hoe de selectie van de deelnemers gaat gebeuren. Wie zullen er als eerst worden uitgenodigd?

In eerste instantie bekijken we wie zich via het opgegeven e-mailadres heeft aangemeld. Bij deze aanmeldingen geven we voorrang aan personen die in het verleden veel hebben bijgedragen aan onderzoek. Daarnaast benaderen we deelnemers van AURORA-PLUS (TRACK) die zich nog niet hebben aangemeld, met de vraag of zij informatie over het cAPPricorn-1 onderzoek willen ontvangen. Vervolgens beoordelen we welke overige aanmeldingen het meest geschikt lijken, zodat de kans zo klein mogelijk is dat kandidaten afvallen tijdens de screening. Let op: pas na afronding van de screening wordt definitief bepaald wie daadwerkelijk aan het onderzoek kan deelnemen.