

# Het onderzoek naar ALN-APP, wie kan meedoen? Meer over het cAPPricorn-1 onderzoek.



HCHWA-D  
VERENIGING KATWIJKSE ZIEKTE

Velen van jullie weten het al: Alnylam is van plan de werking van ALN-APP bij de Katwijkse ziekte te onderzoeken. Het plan voor dat onderzoek, het protocol, ligt op dit moment bij Europese en Nederlandse toezichthouders en wacht op goedkeuring.

In het protocol ligt vastgelegd wie er wel en niet mee kan doen aan cAPPricorn-1 en hoe het onderzoek er precies uit gaat zien. Hierover is veel overleg geweest met experts op het gebied van CAA en de Katwijkse ziekte. Samen met hen is besloten wat wetenschappelijk gezien de meest logische keuzes zijn.

Deze keuzes zijn nog NIET definitief, omdat de toezichthouders kunnen opleggen dat dingen anders moeten, als zij vinden dat bepaalde wijzigingen cAPPricorn-1 beter maakt. Het is niet te voorspellen of dat daadwerkelijk gaat gebeuren.

In sommige landen (het onderzoek wordt in 60 landen gedaan) is deze goedkeuring er al en wordt binnenkort met het onderzoek gestart. Zo gaan deze zomer de eerste mensen met sporadische CAA in Canada deelnemen.

Omdat cAPPricorn-1 van start gaat, is Alnylam verplicht een deel van het protocol online te plaatsen op een Amerikaanse website ([www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)). Dit betekent dat ook de nog niet definitieve opzet van het protocol voor het onderzoek bij mensen met de Katwijkse ziekte nu online te vinden is.

Met het online komen van het protocol, staan we voor een dilemma. We verwachten dat de gedeelde informatie impact op jullie heeft, ook al is het nog niet definitief. We weten dat sommigen van jullie in spanning afwachten of je mee kunt doen of niet en het hele proces naar cAPPricorn-1 toe betrokken zijn geweest. Omdat we beloofd hebben jullie op de hoogte te houden en ervoor willen zorgen, in overleg met Alnylam en het LUMC, dat de keuzes die gemaakt worden begrijpelijk zijn voor iedereen, nemen we jullie alvast mee, ook al zijn ze dus NIET definitief.

Op 11 mei vindt er een fysieke bijeenkomst plaats samen met Alnylam en het LUMC, waar we de informatie verder presenteren en ruimte is voor vragen. Tijdens deze bijeenkomst besteden we ook aandacht aan de vraag: wil ik me laten testen om mee te kunnen doen aan medicijnonderzoek? Je kunt je alvast aanmelden voor deze bijeenkomst bij Maïke Hoek via [mhoek@hchwa-d.nl](mailto:mhoek@hchwa-d.nl).

Heb je nu al brandende vragen, dan kun je altijd contact opnemen met Sanne van Rijn ([svanrijn@hchwa-d.nl](mailto:svanrijn@hchwa-d.nl)) of Maïke Hoek ([mhoek@hchwa-d.nl](mailto:mhoek@hchwa-d.nl)).

## Inclusie- en exclusiecriteria

### VANAF WELKE LEEFTIJD KUN JE MEEDOEN?

De minimale leeftijd om mee te kunnen doen aan het onderzoek is 30 jaar. Deze leeftijd is gebaseerd op wat onderzoekers geleerd hebben uit onderzoeken zoals AURORA en TRACK DCAA. Zij zien vanaf 30 jaar meer veranderingen in wat we 'biomarkers' noemen, manieren om de ziekte te meten. Vanaf deze leeftijd kunnen zij beter zien of ALN-APP effect heeft op de Katwijkse ziekte.

30

### MOET JE WETEN OF JE GENDRAGER BENT?



Alleen mensen die weten dat ze gendrager zijn, kunnen meedoen aan het medicijnonderzoek, in tegenstelling tot bijvoorbeeld TRACK DCAA. Dat is o.a. omdat dat veiliger is, omdat het betere resultaten geeft, omdat daarmee 100% voorkomen wordt dat mensen door deelname achter hun genstatus komen en omdat het onderzoek daardoor sneller gedaan kan worden. Tijdens een bijeenkomst in de nabije toekomst, gaan we hier uitgebreid op in.

### TOT WELKE LEEFTIJD MAG JE MEEDOEN?



Er is geen maximale leeftijd tot waarop je mee kunt doen aan het onderzoek. Er zijn wel een aantal grenzen: bijvoorbeeld hoe ver de Katwijkse ziekte bij jou gevorderd is. Daarom wordt er voor je kunt deelnemen een screening gedaan in het LUMC door o.a. een arts.

### DOET IEDEREEN DIE NU AAN TRACK DCAA MEEDOET, AUTOMATISCH MEE?



De inclusiecriteria voor TRACK DCAA en het medicijnonderzoek zijn niet helemaal hetzelfde. Dat komt, omdat Alnylam uit onderzoek tot nu toe, met dank aan jullie, veel geleerd heeft en dit toepast op het medicijnonderzoek. Iedereen die meedoet aan TRACK DCAA, weet dat hij of zij gendrager is en ouder is dan 30 jaar wordt uitgenodigd voor een screening in het LUMC. Op basis van verschillende testen wordt gekeken of je mee kunt doen. Als dat niet zo is, word je uitgenodigd deel te blijven nemen aan TRACK DCAA.



# Het onderzoek naar ALN-APP, wie kan meedoen? Meer over het cAPPricorn-1 onderzoek.

## HERHALING PAGINA 1 IVM BELANG VAN INFO



HCHWA-D  
VERENIGING KATWIJKSE ZIEKTE

Velen van jullie weten het al: Alnylam is van plan de werking van ALN-APP bij de Katwijkse ziekte te onderzoeken. Het plan voor dat onderzoek, het protocol, ligt op dit moment bij Europese en Nederlandse toezichthouders en wacht op goedkeuring.

In het protocol ligt vastgelegd wie er wel en niet mee kan doen aan cAPPricorn-1 en hoe het onderzoek er precies uit gaat zien. Hierover is veel overleg geweest met experts op het gebied van CAA en de Katwijkse ziekte. Samen met hen is besloten wat wetenschappelijk gezien de meest logische keuzes zijn.

Deze keuzes zijn nog NIET definitief, omdat de toezichthouders kunnen opleggen dat dingen anders moeten, als zij vinden dat bepaalde wijzigingen cAPPricorn-1 beter maakt. Het is niet te voorspellen of dat daadwerkelijk gaat gebeuren.

In sommige landen (het onderzoek wordt in 60 landen gedaan) is deze goedkeuring er al en wordt binnenkort met het onderzoek gestart. Zo gaan deze zomer de eerste mensen met sporadische CAA in Canada deelnemen.

Omdat cAPPricorn-1 van start gaat, is Alnylam verplicht een deel van het protocol online te plaatsen op een Amerikaanse website ([www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)). Dit betekent dat ook de nog niet definitieve opzet van het protocol voor het onderzoek bij mensen met de Katwijkse ziekte nu online te vinden is.

Met het online komen van het protocol, staan we voor een dilemma. We verwachten dat de gedeelde informatie impact op jullie heeft, ook al is het nog niet definitief. We weten dat sommigen van jullie in spanning afwachten of je mee kunt doen of niet en het hele proces naar cAPPricorn-1 toe betrokken zijn geweest. Omdat we beloofd hebben jullie op de hoogte te houden en ervoor willen zorgen, in overleg met Alnylam en het LUMC, dat de keuzes die gemaakt worden begrijpelijk zijn voor iedereen, nemen we jullie alvast mee, ook al zijn ze dus NIET definitief.

Op 11 mei vindt er een fysieke bijeenkomst plaats samen met Alnylam en het LUMC, waar we de informatie verder presenteren en ruimte is voor vragen. Tijdens deze bijeenkomst besteden we ook aandacht aan de vraag: wil ik me laten testen om mee te kunnen doen aan medicijnonderzoek? Je kunt je alvast aanmelden voor deze bijeenkomst bij Maïke Hoek via [mhoek@hchwa-d.nl](mailto:mhoek@hchwa-d.nl).

Heb je nu al brandende vragen, dan kun je altijd contact opnemen met Sanne van Rijn ([svanrijn@hchwa-d.nl](mailto:svanrijn@hchwa-d.nl)) of Maïke Hoek ([mhoek@hchwa-d.nl](mailto:mhoek@hchwa-d.nl)).

## Inclusie- en exclusiecriteria

### ZITTEN IN HET MEDICIJN- ONDERZOEK OOK LUMBAAL- PUNCTIES?



ALN-APP wordt toegediend via een lumbaalpunctie. Het kan alleen op deze manier, want alleen zo komt het op de juiste plek terecht: in de hersenen. Je kunt dus alleen deelnemen aan het geneesmiddelenonderzoek als je akkoord gaat met een aantal lumbaalpuncties.

### ZIJN ER NOG MEER CRITERIA WAARAAN JE MOET VOLDOEN?

Er zijn naast de belangrijkste eerder genoemde criteria nog een aantal andere dingen die bepalen of je mee kunt doen, zoals o.a. je BMI. Daarom wordt tijdens de screening in het LUMC o.a. bloed afgenomen. Deze criteria worden in een latere fase tot in meer detail gedeeld.



### LOOP JE EEN BEHAN- DELING MIS, ALS JE NIET MEE KUNT DOEN?



Nee, we weten namelijk nog niet of ALN-APP werkt, daarom wordt het onderzocht. Wanneer je ervoor kiest mee te doen aan het onderzoek, heb je kans dat je iets krijgt dat de ziekte afremt, maar dat weten we dus pas achteraf. We hopen natuurlijk dat ALN-APP werkt en de ziekte afremt, maar daar kunnen we nu nog niks over zeggen.

### IS ER EEN PLACEBO GROEP?



Ja, wanneer je meedoet kan het zijn dat je in een zogenaamde placebogroep komt. Dat betekent dat je niet ALN-APP krijgt, maar een oplossing. Dat is bijna altijd onderdeel van een onderzoek, omdat mensen soms verbetering laten zien omdat ze denken dat ze een medicijn krijgen (het placebo-effect). Door het toevoegen van een placebogroep, wordt vergeleken of ALN-APP echt werkt.

MEER WETEN OVER ALN-APP? IN JULI 2023 WAS HET TEAM VAN ALNYLAM IN KATWIJK OM TE VERTELLEN HOE MEDICIJNONDERZOEK EN ALN-APP WERKT. JE KUNT DE LINK NAAR DE OPNAME OPVRAGEN BIJ MAÏKE HOEK VIA [MHOEK@HCHWA-D.NL](mailto:mhoek@hchwa-d.nl)