APT-KIDNEY



The **A**daptive **P**latform **T**rial for **Kidney** Disease

EU CT 2026-527443-17-00 · WHO UTN U1111-1331-7534 · ClinicalTrials.gov NCT07595952

Lægmandsresume

v.2.2 271026

1 Om forsøget

APT-KIDNEY gennemføres på nyremedicinske afdelinger i Danmark. Sponsor er Nicholas Carlson, læge, ph.d., Rigshospitalet.

2 Baggrund

Fremskreden nyresygdom er en alvorlig, kronisk sygdom, hvor nyrerne kun fungerer i begrænset omfang. Sygdommen medfører blandt andet en øget risiko for hjerte-kar-sygdom, infektioner og blødninger. Blandt patienter i dialysebehandling dør mere end hver femte inden for et år.

Selv om sygdommen er alvorlig og hyppig, findes der kun få store og pålidelige forsøg, der kan vise, hvilken behandling der virker bedst. Patienter med fremskreden nyresygdom er ofte blevet udelukket fra store forsøg med hjerte-kar-medicin. Behandlingen bygger derfor i høj grad på erfaring og på undersøgelser, som ikke kan afgøre, om en behandling faktisk virker.

3 Et platformsforsøg

I et almindeligt forsøg undersøges ét spørgsmål ad gangen, og der skal opbygges en ny organisation til hvert forsøg. I et platformsforsøg undersøges flere spørgsmål inden for en fælles ramme. Hvert spørgsmål undersøges i et såkaldt domæne, som svarer til et selvstændigt forsøg. Domænerne deler dog forsøgsplan, godkendelse, database og organisation. Nye domæner kan tilføjes, og afsluttede domæner kan lukkes, uden at platformen skal opbygges forfra. Forsøget kaldes adaptivt, fordi det på forhånd er fastlagt, hvordan det kan tilpasses undervejs på baggrund af de indsamlede data.

APT-KIDNEY sammenligner udelukkende behandlinger og behandlingsstrategier, som allerede anvendes i den daglige behandling, og som højst medfører minimal ekstra risiko eller belastning for deltagerne.

4 Formål

Formålet er at skabe en varig platform, hvor behandlinger til patienter med fremskreden nyresygdom kan undersøges effektivt og pålideligt, så fremtidens behandling kan bygge på bedre viden. Effekten vurderes ud fra overlevelse, alvorlig hjerte-kar-sygdom og livskvalitet. Hos patienter med bevaret nyrefunktion vurderes desuden, om nyresygdommen forværres.

5 Hvem kan deltage

Voksne på 18 år eller derover med fremskreden nyresygdom kan deltage. I forsøget betyder fremskreden nyresygdom, at nyrefunktionen målt ved en blodprøve har været under 30 ml/min/1,73 m^2 i mindst tre måneder, svarende til under cirka en tredjedel af normal nyrefunktion, at patienten er i dialysebehandling, at patienten har nyresvigt og i stedet for dialyse modtager såkaldt konservativ behandling, eller at patienten lever med en transplanteret nyre. Deltagerne skal desuden kunne indgå i mindst ét af forsøgets aktive domæner. Patienter, som ikke selv kan give informeret samtykke, kan ikke deltage.

Det er muligt at deltage i flere domæner på samme tid, når det på forhånd er vurderet, at domænerne ikke påvirker hinanden.

6 Forsøgets domæner

Platformen omfatter et eller flere domæner, som hver især undersøger et afgrænset spørgsmål. Hvert domæne er beskrevet i sin egen protokol og har sin egen deltagerinformation og samtykkeerklæring, så patienten kan tage stilling til hvert domæne for sig.

7 Rekruttering og samtykke

Mulige deltagere findes blandt de patienter, der behandles på de deltagende nyremedicinske afdelinger, eller som henvises fra andre afdelinger. Den første henvendelse sker ved et personligt møde i ambulatoriet eller på dialyseafsnittet, eller ved at en medarbejder fra forsøgsholdet ringer til patienten.

Herefter giver en læge fra forsøgsholdet mundtlig information om forsøget ved en samtale i uforstyrrede omgivelser. Samtalen foregår ved fremmøde eller over video. Patienten får samtidig skriftlig information om platformen og om hvert af de domæner, patienten kan deltage i. Patienten har ret til at have en bisidder med til samtalen. Patienten tilbydes mindst 24 timers betænkningstid, inden patienten tager stilling til deltagelse.

Samtykke gives skriftligt, før der foretages noget som led i forsøget. Der gives samtykke både til platformen og til hvert enkelt domæne. Samtykket kan gives digitalt med en sikker elektronisk underskrift eller på papir, hvis digitalt samtykke ikke er muligt eller ønsket. Deltagelse er

frivillig, og deltageren kan til enhver tid trække sit samtykke tilbage uden at give en begrundelse og uden at det får betydning for den videre behandling.

8 Data og fortrolighed

Oplysninger til forsøget registreres af uddannet forsøgspersonale ud fra patientjournalen i en sikker elektronisk database. Oplysningerne suppleres og kontrolleres med data fra de nationale sundhedsregistre og kliniske kvalitetsdatabaser. Alle oplysninger behandles fortroligt og i overensstemmelse med databeskyttelsesforordningen og databeskyttelsesloven.

9 Sikkerhed

Sikkerheden overvåges i hvert domæne efter en plan, der er tilpasset risikoen ved de behandlinger, som sammenlignes. Uafhængige sikkerhedskomitéer, som ikke deltager i forsøget, gennemgår løbende data og kan anbefale, at et domæne ændres eller stoppes. Der indsendes hvert år en sikkerhedsrapport til myndighederne.

10 Organisering og godkendelse

Forsøget ledes af en platformsstyregruppe, som omfatter en patientrepræsentant, og hvert domæne har en domæneleder. Forsøget er godkendt af Lægemiddelstyrelsen og De Videnskabsetiske Medicinske Komitéer, og nye domæner kan først påbegyndes, når de er godkendt.

11 Økonomi

Platformen er finansieret med i alt 962.000 kr. fra Rigshospitalets interne forskningsmidler. De enkelte domæner finansieres af uafhængige fondsmidler, og et domæne sættes først i gang, når finansieringen er på plads. Deltagerne modtager ikke honorar eller anden betaling for at deltage. Sponsor og medlemmer af forsøgets styregrupper oplyser om eventuelle interessekonflikter, og et resumé offentliggøres på forsøgets hjemmeside.

12 Offentliggørelse af resultater

Resultaterne offentliggøres i internationale videnskabelige tidsskrifter og ved videnskabelige konferencer, uanset om de viser en forskel eller ej. Senest et år efter den primære analyse i hvert

domæne offentliggøres et resumé af resultaterne og et lægmandsresumé i den europæiske database for kliniske forsøg, CTIS.

13 Etiske overvejelser

Forsøget sammenligner behandlinger, som allerede anvendes, og hvor det er uvist, hvilken der er bedst. Den ekstra belastning for deltagerne holdes på et minimum, idet opfølgningen så vidt muligt sker ved de besøg, som deltagerne alligevel har på afdelingen. Forsøget kan give viden, der kan forbedre behandlingen af en patientgruppe, som hidtil ofte er blevet udelukket fra forskning, og vurderes derfor at være etisk forsvarligt.