

Vijf jaar durende enkel blinde, gerandomiseerde, gecontroleerde Fase III studie voor recent ontstane juvenile dermatomyositis: corticosteroiden vergeleken met corticosteroiden plus cyclosporine danwel corticosteroiden plus methotrexaat

Gepubliceerd: 21-07-2006 Laatste bijgewerkt: 14-05-2024

Zie engelse tekst voor uitgebreide omschrijving. Vast stellen van effectiviteit en veiligheid van combinatie therapie van corticosteoriden plus MTX of corticosteroiden plus cyclosporine versus conventionele therapie te weten corticosteroiden...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON30111

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Fase III studie voor recent ontstane juvenile dermatomyositis

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

juvenile dermatomyositis

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht
Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: dermatomyositis, juveniele, methotrexaat

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire uitkomst variabelen zoals internationaal gedefinieerd voor deze aandoening (zie ook Engelse tekst).

Secundaire uitkomstmaten

Beloop in de tijd van individuele uitkomstmaten

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Juvenile dermatomyositis (JDM) is een multisysteem aandoening met acute en chronische inflammatie van dwarsgestreept spierweefsel en huid. The ziekte is gekenmerkt door een vasculopathie die soms fataal kan verlopen. Daarnaast komt er calcinosis voor van wisselende ernst. Alhoewel zeldzaam, is JDM de meest voorkomende pediatrische inflammatoire myopathy (incidentie van 3.2 cases/1 miljoen). Ziekte duur varieert van <1.0 jaar tot chronische ziekte die tot in de volwassenheid voortduurt. Mortaliteit wordt gerapporteerd tot zelfs 39%, hoewel de meeste studies getallen van 3-18% melden.

Er treden vaak chronische complicaties en lichamelijke handicaps op (spierzwakte, huidontsteking, contracturen en calcificaties).

De huidige behandeling van JDM rust overwegend op corticosteroiden (langdurige, variërend van 25 tot 84 maanden. Ingeval van onvoldoende respons worden andere immunosuppressiva toegevoegd, die echter geen van allen adequaat uitgetest zijn voor deze indicatie bij kinderen. Men beschikt slechts over enige pilot studies gericht op het vroeg toevoegen van MTX of cyclosporine. Deze pilots zijn echter te klein en missen een gestandaardiseerde meting van uitkomst parameters.

In conclusie kan gesteld worden dat de huidige JDM behandeling niet in staat is ziekte morbiditeit en mortaliteit geheel te voorkomen en dat gerandomiseerde trials naar het effect van tweede lijns middelen nog geheel ontbreken.

Doel van het onderzoek

Zie engelse tekst voor uitgebreide omschrijving.

Vast stellen van effectiviteit en veiligheid van combinatie therapie van corticosteoiden plus MTX of corticosteroiden plus cyclosporine versus conventionele therapie te weten corticosteroiden monotherapie. de veronderstelling is dat combinatie therapie effectiever en even veilig is als de huidige monotherapie.

Onderzoeksopzet

Trial Design. Twee jaar single-blind behandel protoco, gevolgd door 3 jaar follow-up voor onderzoek late effecten.

Inductie zoals conventioneel 3 pulsen intraveneus methylprednisolone (30 mg/kg/pulse max 1 g/pulse) gevolgd door randomisatie

Group 1 prednisone or equivalent (PDN): PDN 2 mg/kg/day;

Group 2 PDN+cyclosporine A (CsA): PDN 2 mg/kg/day + CsA 5 mg/kg/day in 2 oral doses.;

Group 3 PDN + methotrexate (MTX): PDN 2 mg/kg/day + MTX 15-20 mg/m² once per week. Patients treated with MTX will receive concomitant folic or folinic acid according to the attending physician decision.

Long term follow up after month 24 until month 60.

Onderzoeksproduct en/of interventie

geen

Inschatting van belasting en risico

Dit protocol valt volledig samen met huidige conventionele therapie en follow up.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

PB 85090
3508AB Utrecht
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

PB 85090
3508AB Utrecht
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Criteria voor diagnose juveniele dermatomyositis volgens Bohan and Peters. Spierbiopsie is niet verplicht. Meisjes die zwanger kunnen worden moeten toestemmen in anticonceptie. (blz 10 protocol)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

neutrophil aantal minder dan 1500 en trombocytaantal minder dan 50.000.

Huid of maag-darm ulcera bij een JDM geassocieerd met longafwijkingen of cardiomyopathie.
Slechte compliantie.
Levend verzwakte vaccins niet toegestaan

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blindering:	Enkelblind
Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	22-12-2006
Aantal proefpersonen:	6
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Ledertrexate
Generieke naam:	methotrexaat
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering
Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Neoral
Generieke naam:	ciclospine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-07-2006
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	26-09-2006
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-10-2006
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
Ander register	2006-05-09
EudraCT	EUCTR2005-003956-37-NL
CCMO	NL12325.041.06