

Perifere neuropathieën uitkomstmaten standaardisatie studie

Gepubliceerd: 05-03-2007 Laatste bijgewerkt: 14-05-2024

Het doel is om, door middel van het vergroten van de klinimetrische kennis over de verschillende uitkomstmaten op alle niveaus van meten, tot een minimum set aan representatieve uitkomstmaten te komen, welke in de toekomst gebruikt kunnen worden in...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Auto-immuunziekten
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON30708

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PeriNomS studie

Aandoening

- Auto-immuunziekten
- Perifere neuropathieën

Synoniemen aandoening

perifere zenuwaandoening, polyneuropathie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: (poly)neuropathie, klinimetrie, uitkomstmaten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste onderzoeksvariabelen zijn de uitkomstmaten zelf die getoetst worden op toepasbaarheid, validiteit, betrouwbaarheid en responsiviteit.

Secundaire uitkomstmaten

niet van toepassing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De laatste zeven jaren heeft de 'Inflammatory Neuropathy Cause And Treatment' (INCAT) groep het initiatief genomen om te komen tot standaardisatie van uitkomstmaten die gebruikt worden voor wetenschappelijk onderzoek naar polyneuropathieën. Deze inspanningen hebben geleid tot een workshop, geleid door het European Neuromuscular Centre (ENMC). De aanbevelingen vanuit deze workshop over de verdere wetenschappelijke evaluatie van uitkomstmaten en de standaardisatie ervan vormt de basis van de opzet van dit onderzoek.

Het onderzoek richt zich op het vergelijken van veel gebruikte uitkomstmaten bij patiënten met een auto-immuun gemedieerde polyneuropathie. Conform de WHO richtlijnen, betreft het uitkomstmaten op pathologisch vlak, op het niveau van impairment (mate van aangedaan zijn), op het gebied van activity limitation (mate van beperking in activiteiten als gevolg van de ziekte) en betreffende kwaliteit van leven. Door deze uitkomstmaten naast elkaar te zetten in cross-sectionele en in longitudinale groepen wordt een beeld gevormd van de meest valide, betrouwbare en responsieve maten.

Doel van het onderzoek

Het doel is om, door middel van het vergroten van de klinimetrische kennis over de verschillende uitkomstmaten op alle niveaus van meten, tot een minimum set aan representatieve uitkomstmaten te komen, welke in de toekomst gebruikt kunnen worden in klinische studies bij patiënten met een auto-immuun

gemedieerde polyneuropathie.

Onderzoeksopzet

Het betreft een multi-centre observationeel onderzoek, bestaande uit een cross-sectioneel en een longitudinaal deel.

Inschatting van belasting en risico

In het cross-sectionele deel van de studie worden 120 patiënten twee maal onderzocht met een tijdsinterval van 2-4 weken. Hiervoor dient de patiënt thuis vragenlijsten in te vullen en twee keer naar het ziekenhuis te komen voor aanvullend onderzoek (neurologisch onderzoek, meting van kracht/gevoel met bepaalde instrumenten). Er zal één keer een EMG worden verricht en er zal, na instemming van de patient, een huidbiopsie worden afgenomen.

Voor het longitudinale deel van de studie worden 70 patiënten met de diagnose GBS of CIDP na inclusie vijf keer gedurende één jaar vervolgd. Daarnaast zullen 40 patiënten met de diagnose MGUSP of MMN worden geïnccludeerd welke drie keer gedurende één jaar worden vervolgd. Dit betreft eveneens bovengenoemd onderzoek, met twee keer een EMG en een huidbiopsie (eerste en laatste bezoek). Het invullen van de vragenlijsten neemt per keer ongeveer 1,5 uur in beslag. De bezoeken aan het ziekenhuis duren ongeveer een 1 uur per keer (eerste bezoek 1,5-2 uur bij beide studiegroepen, laatste bezoek van de longitudinale groep duurt ook ongeveer 1,5-2 uur).

De belasting voor de patiënt bestaat voornamelijk uit tijdsinvestering. Een huidbiopsie is in veel ziekenhuizen een standaard diagnostische procedure en betreft een minimaal invasieve ingreep. Het huidbiopsie kent een klein risico; er bestaat een zeer kleine kans op een ontsteking en er ontstaat meestal een klein litteken ter grootte van het afgenomen biopsie. Het EMG is niet risicovol, maar kan enigszins pijnlijk zijn.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

postbus 1738
3000 DR Rotterdam
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

postbus 1738
3000 DR Rotterdam
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- patiënten moeten een helder bewustzijn hebben
- patiënten moeten voldoen aan de internationale criteria voor het stellen van de diagnose
- door de deelnemer ondertekend 'informed consent' is verplicht voor inclusie
- patiënten waarbij voor het eerst de diagnose GBS, CIDP, MGUSP of MMN is gesteld zullen worden geïnccludeerd in het longitudinale deel van deze studie
- CIDP patiënten met een klinisch objectieveerbare terugval, die minstens 2 maanden geen medicijnen gebruikt hebben (bv intraveneuze immunoglobulines, steroiden, immunosuppressiva) kunnen worden geïnccludeerd in het longitudinale deel van de studie
- MMN patiënten met een nieuwe (multi)focale zenuwuitval, die minstens 2 maanden geen medicijnen gebruikt hebben (bv intraveneuze immunoglobulines) kunnen worden geïnccludeerd in het longitudinale deel van de studie
- MGUSP: in beide delen van de studie kunnen patiënten alleen worden geïnccludeerd in de MGUSP groep als er sprake is van MGUSP met serologisch bewezen IgM anti-MAG+ antilichamen. Om geïnccludeerd te worden in het longitudinale deel van de studie moeten de MGUSP patiënten tevens een indicatie hebben voor therapie (op basis van een evidente progressie van de ziekteverschijnselen)
- patiënten met een IgG MGUSP en klinisch de diagnose en het beloop van een CIDP kunnen worden geïnccludeerd als een CIDP (in beide delen van de studie)
- patiënten met de diagnose GBS, CIDP, MMN, MGUSP of AI-SFN die zich in een klinisch

stabiele situatie bevinden zullen worden geïnccludeerd in het cross-sectionele deel van deze studie. Klinisch stabiel is gedefinieerd als meer dan 2 maanden onveranderd klinisch functioneren volgens patiënt zelf en geen objectieveerbare veranderingen bij neurologisch onderzoek (indien beschikbaar, met gegevens vanuit status en bij vergelijking tussen tweede en eerste bezoek)

- de voor het cross-sectionele deel van de studie geselecteerde patiënten moeten nog restverschijnselen hebben als gevolg van hun ziekte, welke een breed spectrum aan beperkingen in activiteiten representeren.

- patiënten met CIDP of MMN die (interval) therapie krijgen kunnen worden geïnccludeerd in het cross-sectionele deel van de studie zolang er sprake is van een klinisch stabiele situatie (zie definitie hierboven)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- leeftijd < 18 jaar

- bijkomende ziekte (b.v. diabetes, nierfalen), (vroegere) behandeling met chemotherapie of alcoholmisbruik welke zowel invloed kan hebben op het zenuwstelsel in het algemeen als op het fysieke functioneren

- patiënten met een IgM MGUSP zonder serologisch aangetoonde IgM anti-MAG+ antilichamen zullen worden geëxcludeerd voor de studie (beide delen)

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 04-04-2007

Aantal proefpersonen: 170

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-03-2007

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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
CCMO	NL14641.078.06