

Intraveneuze versus Subcutaan Immunoglobuline therapie in Multifocal motorische neuropathie

Gepubliceerd: 12-07-2007 Laatste bijgewerkt: 08-05-2024

1. Primaire vraagstelling is of SCIg even effectief is als IVIg in handhaven van de spierkracht in patiënten met MMN. 2. Secundaire vraagstellingen zijn: a) evalueren of SCIg even effectief is als IVIg in handhaven van de knijpkracht. b) evalueren of...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Perifere neuropathieën
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON31197

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ISIM

Aandoening

- Perifere neuropathieën

Synoniemen aandoening

motorische neuropathie, zenuwaandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, bedrijf, Sanquin

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: immunoglobuline, intraveneus, multifocale motorische neuropathie (MMN), subcutaan

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaat is gedefinieerd als de proportie van patiënten die meer dan 1 punt op de MRC (Medical Research Council) sum score tijdens de SCIg behandeling vergeleken met de IVIg behandeling.

Secundaire uitkomstmaten

1. knijpkracht
2. functional dexterity test
3. ALDS (Amsterdam Linear disability scale)
4. INCAT disability scale
5. SF-36
6. Modified Life Quality index
7. systemische en lokale bijwerkingen
8. IgG en IgG subcklasse concentratie

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Multifocale motorische neuropathie (MMN) is een verworven chronische aandoening van de motorische zenuwen leidend tot krachtverlies in armen en benen. De eerste keus behandeling is intraveneuze behandeling met immunoglobuline (IVIg). Subcutane toediening van immunoglobuline (SCIg) lijkt een goed alternatief. Deze behandeling wordt al regelmatig gebruikt bij patiënten met afweerstoornissen zoals bv common variable immunodeficiency. Er zijn meerdere voordelen van SCIg boven IVIg. Zo gaat SCIg gepaard met de

stabielere concentraties van immunoglobuline in het bloed. Dit leidt mogelijk tot een betere remming van een continu ziekteproces. Daarbij worden hoge piekdoseringen van IVIg vermeden die de waarschijnlijke oorzaak zijn voor eventuele serieuze bijwerkingen. Een ander aspect is dat patiënten SCIg zelf kunnen toedienen waardoor zij de plaats en tijd van de behandeling zelf kunnen bepalen. Als laatste is SCIg goedkoper dan IVIg.

Doel van het onderzoek

1. Primaire vraagstelling is of SCIg even effectief is als IVIg in handhaven van de spierkracht in patiënten met MMN.
2. Secundaire vraagstellingen zijn:
 - a) evalueren of SCIg even effectief is als IVIg in handhaven van de knijpkracht.
 - b) evalueren of SCIg even effectief is als IVIg in handhaven van de functionele status.
 - c) evalueren of SCIg in een betere kwaliteit van leven resulteert.
 - d) vastleggen van potentiële (serieuze) bijwerkingen, 'suspected unexpected adverse reactions' van SCIg en lokale bijwerkingen.
 - e) evalueren of SCIg in stabielere en hogere gemiddelde IgG serum concentratie resulteert ten opzichte van IVIg.

Onderzoeksopzet

Een single-center open-label pilot interventie studie

Onderzoeksproduct en/of interventie

Na 2 giften IVIg en baseline metingen worden patiënten overgezet naar SCIg (Gammaquin). De patiënten worden geïnstrueerd hoe zij zichzelf deze behandeling kunnen toedienen. SCIg wordt wekelijks toegediend. Gammaquin bestaat uit een eiwitfractie verkregen uit normaal, menselijk plasma afkomstig van ten minste 1000 donors. De eiwitfractie bestaat uit ten minste 90% immunoglobuline G (IgG). SCIg doseringen worden individueel per patiënt uitgerekend, waarbij gestreefd wordt te starten met een dosering die in de buurt ligt van de helft van de IVIg dosering. Bij klinische achteruitgang zal de dosis worden verdubbeld.

Inschatting van belasting en risico

De volgende items zullen worden nagegaan:

- Gewicht: eerste bezoek
- Twee beperkingenlijsten: eerste 2 bezoeken, 3 mnd, eind
- Twee kwaliteit-van-leven vragenlijsten: eerste 2 bezoeken, 3 mnd, eind
- Bijwerkingen vragenlijst: alle bezoeken (11 keer)
- Spierkrachtmeting, knijpkracht en functiemeting van de handen: alle bezoeken (11 keer)
- Bloedafname middels vingerprik: alle bezoeken (13 keer)

De vingerprik is een fraaie en de minst invasieve methode tot het bepalen van de serum immunoglobuline.

Met name lokale bijwerkingen worden bij SCIg beschreven, zoals roodheid, jeuk en pijn. In eerdere onderzoeken zijn deze als weinig hinderlijk ervaren. Één van de doelstellingen van het onderzoek is een inschatting maken van het voorkomen van deze bijwerkingen.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1100DD Amsterdam
Nederland

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
1100DD Amsterdam
Nederland

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)

Alle patienten van 18 jaar of ouder met symptomen passend bij MMN volgens de EFNS/PNS criteria voor definitieve MMN en in reguliere intervallen behandeld worden met IVIg voor ten minste 6 maanden.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Gebruik van medicijnen die motorische neuropathie kunnen veroorzaken
Patient of partner is niet in staat tot subcutane immunoglobuline toediening
Andere ziekten die motorische neuropathie veroorzaken of mobiliteit beperken
Ziekten die tot een ernstige handicap of dood op korte termijn leiden
Bekende selectieve IgA deficiëntie met IgA antistoffen
Weigering van informed consent of terugtrekking van eerdere goedkeuring
Wilsonbekwame patienten

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-05-2007
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Gammaquin
Generieke naam:	subcutaan immunoglobuline
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC

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
EudraCT	EUCTR2007-001797-86-NL
CCMO	NL17216.018.07