

Vermindering van botmorbiditeit door bisfosfonaat behandeling bij patienten met fibreuze dysplasie van het skelet

Gepubliceerd: 05-11-2008 Laatst bijgewerkt: 06-05-2024

Onderzoeken van het effect van het bisfosfonaat risedronaat (samen met vitamine D en calcium suppletie of calcium, vitamine D en fosfaat suppletie bij patienten met fosfaat verlies) op botpijn en de evolutie van osteolytische botlaesies bij...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON32720

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PROFIDYS

Aandoening

- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
- Botafwijkingen (excl. congenitaal en breuken)

Synoniemen aandoening

bestaan niet

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: ZonMW

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: botpijn, fibreuze dysplasie, osteolytische haarden, risedronaat

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Studie I: Intensiteit van de pijn gemeten door een visual analog scale (VAS);

veiligheid van de behandeling

Studie II: Röntgenologische verbetering; veiligheid van de behandeling

Secundaire uitkomstmaten

Studie I: Vermindering van het aantal pijnlijke laesies; vermindering van het

gebruik van analgetica; verbetering van de kwaliteit van leven (S-36;

AIMS2-short form); vermindering van biochemische markers van botturnover;

röntgenologische verbetering; stijging van de botdichtheid bij patienten met een

heuplocalisatie

Studie II: Verbetering van de kwaliteit van leven; vermindering van

biochemische markers van botturnover; stijging van de botdichtheid bij

patienten met een heuplocalisatie

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Fibreuze dysplasie (FD) is een zeldame congenitale botaandoening gekenmerkt door de vervanging van normaal bot door fibreus weefsel op een of meer plaatsen van het skelet die leidt tot osteolytische laesies. De voornaamste verschijnselen zijn botpijn, botdeformiteiten en fractures en in sommige

gevallen neurologische complicaties bij localisatie van de ziekte in de schedel of de cervicale wervelkolom. De ziekte wordt veroorzaakt door mutaties van het gen van de Gsa subunit. Bij vele patienten is er ook een renaal fosfaatverlies dat leidt tot hypofosfataemie en eventueel een mineralisatie stoornis.

Huidige behandelingen zijn of palliatief (analgetica tegen de pijn) of chirurgisch (preventie en behandeling van fractures).

Recente "open" studies toonden aan dat toediening van bisfosfonaten bij patienten met FD kan leiden tot aanzienlijke vermindering van de botpijn, stijging van de botdichtheid van aangetaste botten, significante daling van het botturnover en progressieve mineralisatie van osteolytische laesies bij ongeveer 50% van patienten. Deze verbeteringen waren niet bij alle studies gezien.

De enige manier om de effectiviteit van bisfosfonaten bij FD te toetsen is door een gecontroleerde internationale studie.

Doel van het onderzoek

Onderzoeken van het effect van het bisfosfonaat risedronaat (samen met vitamine D en calcium suppletie of calcium, vitamine D en fosfaat suppletie bij patienten met fosfaat verlies) op botpijn en de evolutie van osteolytische botlaesies bij patienten met FD.

Onderzoeksopzet

Gerandomiseerde, dubbel-blind, placebo-gecontroleerde studie. Patienten worden gerandomiseerd naar risedronaat tabl 30 mg/d of placebo. Alle patienten worden behandeld met calcium en vitamine D (of calcium, vitamine D en fosfaat). Er zijn 2 parallele studies, respectievelijk Studie I van 1 jaar duur en Studie II van 3 jaar duur.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Risedronaat oraal 30 mg/d of placebo

Inschatting van belasting en risico

Er is geen extra belasting voor de patienten. De risico's zijn de bekende risico's van het orale toedienen van bisfosfonaten, in het bijzonder risedronaat.

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
2333 ZA Leiden
NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
2333 ZA Leiden
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)

Studie I: Patienten met fibreuze dysplasie en pijnlijke botlaesies met een intensiteit hoger dan 3 op een visual analog scale van 0 tot 10.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

patienten jonger dan 18 jaar (voor het Nederlandse protocol)
patienten met andere botziekten of onder behandeling met medicijnen die de
botstofwisseling beïnvloeden
nierinsufficiëntie (kreatinine klaring <25 ml/min)
leverstoornissen

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blindering:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Zal niet starten
Aantal proefpersonen:	15
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Actonel
Generieke naam:	risedronaat
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-11-2008
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 06-11-2008
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 24-08-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 16-11-2009
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

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

EudraCT

Ander register

CCMO

ID

EUCTR2006-003549-18-NL

EudraCT 2006-003549-18

NL23928.058.08