

De beste spiertest voor Duchenne spierdystrofie;

Meetmethoden voor trials bij Duchenne spierdystrofie

Gepubliceerd: 14-09-2009 Laatste bijgewerkt: 28-09-2024

1. Bepaling van de sensitiviteit van diverse meetmethoden naar verandering in spierkracht en -functie bij Duchenne Spierdystrofie
2. Bepaling van de reproduceerbaarheid metingen van deze meetmethoden
3. Bepaling van de klinische relevantie van gemeten...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON32991

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Meetmethoden voor Duchenne

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne, spierdystrofie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Prinses Beatrix Fonds; ZonNW, Prosensa

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Duchenne spierdystrofie, kracht, meetmethoden, trials

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

1. gemiddelde verandering testuitslag over de tijd (6-12 maanden)
2. intraclass correlation coefficient
3. smallest detectable difference

van de volgende testen:

- Manual Muscle Testing
- Quantitative Muscle Testing
- Timed Function Tests
- Six Minute Walk Test
- Northstar Ambulatory Assessment
- Longfunctie onderzoek
- QoL schaal (DISABKIDS)

Secundaire uitkomstmaten

minimal clinical important difference van QoL schaal en Northstar Ambulatory

Assessment

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne spierdystrofie is een X-chromosomaal gebonden aandoening, veroorzaakt door een mutatie in het dystrofinegen. Dit eiwit heeft een belangrijke functie in de stabiliteit van het spiermembraan. Bij Duchenne spierdystrofie is het dystrofine afwezig, wat leidt tot contractie-geïnduceerde spierschade. Klinisch heeft dit progressieve spierzwakte tot gevolg, wat leidt tot een rolstoelgebonden bestaan vanaf gemiddeld het tiende levensjaar en het overlijden aan respiratoire insufficiëntie of een cardiomyopathie rond de twintig, wanneer patiënten niet behandeld worden. Momenteel wordt veel onderzoek gedaan naar een mogelijke therapie voor deze tot nu toe onbehandelbare spierziekte. Het gebruiken van een betrouwbare en gevoelige meetmethode bij dergelijk wetenschappelijk onderzoek is uiteraard van groot belang. Helaas ontbreekt bij Duchenne spierdystrofie consensus over het gebruik van meetmethoden. Het huidige onderzoek heeft tot doel te onderzoeken welke meetmethode(s) bruikbaar zijn als uitkomstmaat bij het ontwikkelen van therapieën voor Duchenne spierdystrofie.

Doel van het onderzoek

1. Bepaling van de sensitiviteit van diverse meetmethoden naar verandering in spierkracht en -functie bij Duchenne Spierdystrofie
2. Bepaling van de reproduceerbaarheid metingen van deze meetmethoden
3. Bepaling van de klinische relevantie van gemeten veranderingen in de meetmethoden

Onderzoeksopzet

Prospectief, observationeel onderzoek. Inclusie van patiënten vindt plaats via de dystrofie database in het LUMC en via het ALADIN (All Against Duchenne In the Netherlands) consortium. De verwachte duur van het onderzoek is 2 jaar.

Inschatting van belasting en risico

Deelnemers wordt gevraagd met tussenpozen van zes maanden drie keer een dag naar het LUMC te komen. Tijdens deze dagen worden diverse testen afgenomen gericht op spierkracht, spierfunctie en longfunctie: Manual Muscle Testing, Quantitative Muscle Testing, Six Minute Walk Test, Timed Function Tests, North Star Ambulatory Assessment en longfunctietesten (FVC, MIP, MEP). Daarnaast wordt voorafgaand aan elk bezoek aan deelnemers gevraagd een vragenlijst gericht op kwaliteit van leven in te vullen en aan te geven in welke mate ze wat betreft spierkracht, spierfunctie, lopen en longen veranderd zijn ten opzichte van de vorige testdag.

Het risico bij deelname betreft de kans tijdens een van de testen te vallen. De gevolgen van een eventuele val worden zo klein mogelijk gemaakt door testen indien mogelijk op een zachte ondergrond uit te voeren en bij de Six Minute Walk Test iemand de proefpersoon te laten begeleiden, zodat deze opgevangen kan

worden indien hij valt.

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

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

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Duchenne spierdystrofie
leeftijd vanaf 5 jaar

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

rolstoelafhankelijkheid

onvermogen opdrachten op te volgen door verstandelijke handicap of gedragsproblemen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 01-04-2010

Aantal proefpersonen: 60

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 14-09-2009

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

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	NL26469.058.09