

Cognitieve en motorische ontwikkeling, zenuw functie, somatische groei en puberteitsomntwikkeling, en (spontane) schildklierfunctie van 10,5 jaar oude kinderen met Down syndroom na thyroxine of placebo behandeling tijdens de eerste 2 levensjaren.

Gepubliceerd: 27-11-2009 Laatste bijgewerkt: 04-05-2024

Het nagaan of T4 behandeling gestart in de neonatale periode en gecontinueerd tot de leeftijd van 2 jaar resulteert in een betere motorische of cognitieve ontwikkeling op de leeftijd van 10 jaar en 6-8 maanden dan placebo behandeling, en of het een...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON33051

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Ontwikkeling van kinderen met Down syndroom na vroege thyroxine behandeling

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Schildklieraandoeningen

Synoniemen aandoening

"Down syndroom" en "Het syndroom van Down"

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, Farmaceutische industrie: Ferring BV, Ferring

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cognitieve en motorische ontwikkeling, Down syndroom, Thyroxine behandeling

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Cognitieve ontwikkeling gemeten met de *Snijders-Oomen Non-Verbale

Intelligentietest-Revisie* of met de Nederlandse, 2e versie van *Bayley Scales

of Infant Development* (BSID-II, bij kinderen met een ernstige

ontwikkelingsachterstand).

Secundaire uitkomstmaten

Grove motorische ontwikkeling gemeten met de *Movement Assessment Battery for

Children* of met de psychomotorische schaal van de BSID-II (bij kinderen met

een ontwikkelingsleeftijd minder dan 3 jaar). *Fijne* motorische ontwikkeling

gemeten met de *Beery test of Visuo-Motor Integration*. *Processing speed*

gemeten met de *baseline speed* computer taak uit de *Amsterdamse

Neuropsychologische Testbatterij*. Gedragsontwikkeling gemeten met de

Vragenlijst omtrent ontwikkeling en gedrag bij kinderen. Zenuw functie

(geleidingssnelheid) gemeten met de *somatosensory evoked potentials* test.

(Somatische) groei en (puberteits-)ontwikkeling bepaald middels lichamelijk

onderzoek. (Spontane) schildklierfunctie bepaald middels laboratorium onderzoek

en ultrageluid onderzoek van de schildklier.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Schildklierhormoon is onmisbaar voor normale (pre- en) postnatale hersengroei en -ontwikkeling. Jonge kinderen met Down syndroom hebben als groep een milde vorm van (congenitale) hypothyreoïdie die niet wordt gedetecteerd door de neonatale screening, maar die toch schadelijk zou kunnen zijn voor hun hersenontwikkeling. Om na te gaan of deze groep kinderen *baat* zou kunnen hebben van behandeling met schildklierhormoon (thyroxine = T4) hebben wij een gerandomiseerde klinische trial uitgevoerd, waarin het effect van T4 vs. placebo behandeling gestart in de neonatale periode op de cognitieve en motorische ontwikkeling op de leeftijd van 2 jaar is onderzocht (trial periode: Juni 1999 tot oktober 2003). In deze trial vonden wij dat de met T4 behandelde kinderen een iets kleinere motorische ontwikkelingsachterstand hadden, en dat er in een subgroep analyse tevens sprake was van een iets kleinere cognitieve ontwikkelingsachterstand. Tot op heden zijn er geen gegevens beschikbaar over de lange termijn effectiviteit en veiligheid van T4 behandeling van jonge kinderen met Down syndroom.

Doel van het onderzoek

Het nagaan of T4 behandeling gestart in de neonatale periode en gecontinueerd tot de leeftijd van 2 jaar resulteert in een betere motorische of cognitieve ontwikkeling op de leeftijd van 10 jaar en 6-8 maanden dan placebo behandeling, en of het een veilige behandeling is ten aanzien van de zenuwfunctie (geleidingssnelheid), (somatische) groei en ontwikkeling, en de (spontane) schildklierfunctie.

Onderzoeksopzet

Observationele studie.

Inschatting van belasting en risico

Als de met T4 behandelde kinderen met Down syndroom op de leeftijd van 10 jaar en 6-8 maanden een betere ontwikkelingsuitkomst hebben dan de met placebo behandelde kinderen, en de T4 behandeling veilig blijkt, is dat een sterk argument voor het adviseren en implementeren van deze behandeling als *standaard* behandeling van alle pasgeborenen met Down syndroom. De risico's van de huidige studie zijn klein en betreffen pijn geassocieerd met de veneuze bloedafname en ongemak geassocieerd met de evoked potentials test. De pijn zal

worden geminimaliseerd door het aanbrengen van verdovende crème op de plaats van de venapunctie (Emla®). Als het ongemak te groot is zal de evoked potentials test worden onderbroken en overgeslagen in overeenstemming met de gedragscode beschreven in paragraaf 7.3 van het onderzoeksprotocol.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Postbus 22660
1100 DD Amsterdam
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Postbus 22660
1100 DD Amsterdam
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Zie item D3.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Geen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving nog niet gestart

(Verwachte) startdatum: 15-11-2009

Aantal proefpersonen: 181

Type: Verwachte startdatum

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
CCMO	NL29139.018.09