

Transitie van kindergeneeskundige naar volwassenen zorg bij vrouwen met het syndroom van Turner: Oxandrolon vervolgstudie

Gepubliceerd: 12-05-2009 Laatste bijgewerkt: 06-05-2024

Het doel van de studie is te onderzoeken wat de lange termijn effecten (op volwassen leeftijd) van de TOS studie medicatie (groei hormoon en oestrogeen met of zonder Ox) zijn. Het focus ligt op volwassen lengte, lichaambouw, virilisatie, het...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Endocriene aandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON33605

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Turner Oxandrolon vervolgstudie

Aandoening

- Endocriene aandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

syndroom van Turner

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Overige ondersteuning: industrie: Pfizer,Pfizer

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: groeihormoon, oxandrolon, syndroom van Turner

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste studie parameters zijn, als in de TOS: lengte, lichaamsbouw, tekenen van virilisatie, glucosetolerantie, lipidenprofiel, cardiovasculaire afwijkingen, lever- en schildklierfunctie, (neuro)psychologisch functioneren en kwaliteit van leven. De effecten van Ox zullen worden geanalyseerd met in acht neming van de genotypische variatie van de geslachtschromosomen en de groei hormoon receptor.

Secundaire uitkomstmaten

Niet van toepassing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Het Turner syndroom ontstaat als gevolg van een complete of gedeeltelijke afwezigheid van één X-chromosoom. Naast een korte lengte and gonadale dysgenese is het Turner syndroom geassocieerd met een grote verscheidenheid aan afwijkingen in bijna elk orgaansysteem. In 1991 ging de Nederlandse 'Turner Oxandrolone Studie' (TOS) van start: een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde studie naar de effecten van het androgeen Oxandrolon (Ox) in combinatie met biosynthetisch groeihormoon en een lage dosering oestrogenen op groei en metabole parameters in meisjes met het syndroom van Turner. In deze studie zijn de meisjes tot 1.5 jaar na het staken van het groeihormoon en Ox/placebo gevolgd. Eerste analyses suggereren dat Ox groei bevordert ten koste van milde virilisatie en verminderde borstontwikkeling, met name in de hoog gedoseerde groep. De gunstige effecten en mogelijke bijwerkingen van Ox reiken mogelijk verder dan de onderzoeksperiode van het originele kinderprotocol. De huidige studie is een lange termijn, follow-up studie van TOS. De kinderen die participeerden in de originele TOS hebben nu de

volwassen leeftijd bereikt.

Doel van het onderzoek

Het doel van de studie is te onderzoeken wat de lange termijn effecten (op volwassen leeftijd) van de TOS studie medicatie (groei hormoon en oestrogeen met of zonder Ox) zijn. Het focus ligt op volwassen lengte, lichaambouw, virilisatie, het metabool en cardiovasculair risicoprofiel, neuropsychologische aspecten en kwaliteit van leven. Onze hypothese is dat permanente gunstige effecten van behandeling met Ox opwegen tegen de kortdurende bijwerkingen.

Onderzoeksopzet

Het betreft een observationele studie als lange termijn follow-up van een multicentrum, dubbelblind, placebogecontroleerd onderzoek.

Inschatting van belasting en risico

Deelnemers aan het onderzoek komen een gehele dag naar het UMC st Radboud. Tijdens dit eenmalig bezoek komen de volgende zaken aan bod: een gestandaardiseerde anamnese en lichamelijk onderzoek inclusief het maken van foto's, bloedonderzoek, afname van urine, haar en wangslijmvlies, (neuro) psychologische testen, stemanalyse, audiometrie, botdichtheidsmeting en een ECG. De risico's voor de deelnemers geassocieerd met deze onderzoeken zijn minimaal. Als er afwijkende bevindingen worden gevonden tijdens het onderzoek, zal patient doorgestuurd worden naar haar eigen behandelend arts.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Postbus 9101
6500 HB Nijmegen
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Postbus 9101
6500 HB Nijmegen

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)

Inclusiecriteria zijn afronding van het originele TOS protocol meer dan 6 maanden geleden en een leeftijd boven de 18 jaar. Belangrijkste inclusiecriteria van het originele protocol waren:

a) bevestiging van de diagnose TS middels karyotypering. Elk chromosomenpatroon dat geassocieerd is met TS is acceptabel, behalve de aanwezigheid van een Y chromosoom. b) Leeftijd tussen de 2 en 15.99 jaar. c) Goed gedocumenteerde groeicurve in het afgelopen jaar. d) Botleeftijd onder de 12.0 jaar.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Exclusie criteria: a) patienten die minder dan twee maanden geleden voor start van dit onderzoek hebben deelgenomen aan geneesmiddelenonderzoek. b) Maligniteit of ernstige beperking. c) Verdenking op een psychiatrische ziekte. d) Zwangerschap of fertiliteitsbehandeling. Belangrijkste exclusie criteria van het originele protocol: a) een endocriene of metabole ziekte, met uitzondering van schildklierziekten mits adequaat behandeld. b) Groeistoornis door urologische, cardiopulmonale, gastrointestinale of neurologische afwijkingen; voedings- of vitaminedeficienties, chondrodysplasie. c) Patienten met hydrocephalus. d) Patienten die minder dan twee maanden voor start van het onderzoek aan een experimentele medicatiestudie hebben meegedaan. e) Patienten die medicatie gebruiken welke van invloed kan zijn op groeihormoon behandeling. f) Eerdere behandeling met groeihormoon, vrouwelijk hormoon of anabool steroid. g) Afwijkingen bij algemeen pediatrisch en biochemisch onderzoek (scoliose, levertestafwijkingen, nierfunctietestafwijkingen, electrolytstoornissen, afwijkingen in bloedbeeld, urine glucose,

eiwit en sediment). h) Ernstige verdenking op emotionele deprivatie of psychiatrische ziekte.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	28-07-2009
Aantal proefpersonen:	133
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Registratie:	Geen registratie
--------------	------------------

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-05-2009
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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	NL26203.091.09