

Inspanningsonderzoek bij ambulante kinderen met Duchenne Musculaire Dystrofie en Becker Musculaire Dystrofie: een pilot studie

Gepubliceerd: 23-01-2012 Laatste bijgewerkt: 30-04-2024

Het doel van dit onderzoek is om de uitvoerbaarheid van de zes minuten wandeltest (6MWT) en de cardiopulmonale inspanningstest (CPET) als uitkomstmaten voor fysieke fitheid te bepalen bij kinderen met Duchenne Musculaire Dystrofie (DMD) en Becker...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON35527

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Inspanningsonderzoek bij Musculaire Dystrofie

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Musculaire dystrofie, spierziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: SIA RAAK

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: inspanningsonderzoek, kinderen, Musculaire Dystrofie, pilot

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

uitkomstmaten uitvoerbaarheid waaronder testuitvoering, ervaren testbelasting en nadelige effecten van de test.

Testuitvoering (measurement completion):

Het percentage goede testuitvoering is gedefinieerd als het aantal proefpersonen die de test volledig hebben uitgevoerd.

Een voortijdig beëindiging van de test kan veroorzaakt worden door onvoldoende motivatie of begrip van het testprotocol.

In deze studie wordt een goede testuitvoering van de 6MWT gedefinieerd als een test die uitgevoerd is volgens de ATS richtlijnen.

Een goede testuitvoering van de CPET is gedefinieerd als een test die uitgevoerd wordt volgens de criteria van Rowland of als er minimaal een testduur van zes minuten wordt bereikt. De criteria van Rowland zijn verdeeld in subjective en objectieve criterie. Een kind moet minimaal voldoen aan 1 subjectief en 1 objectief criterium. In deze studie is er een minimaal acceptabel percentage van goede testuitvoering gekozen van 90% voor beide testen.

Ervaren testbelasting (acceptability)

De bereidheid om de test in de toekomst nogmaals uit te voeren op basis van de ervaren belasting wordt gemeten aan de hand van een visueel analoge schaal die na elke test wordt afgenomen. Een hogere score reflecteert minder bereidheid om de test nogmaals te doen in de toekomst. Gedurende de 6MWT wordt de valfrequentie, tijdsduur opstaan van de grond na een val, en aantal en duur van rustperiodes gemeten

Nadelige effecten (Adverse events)

Nadelige effecten van de inspanningstesten zullen gemonitord worden

Fysieke klachten zullen geevalueerd worden met behulp van een visueel analoge schaal die voor en na de test wordt afgenomen en elke ochtend en avond in de eerste zeven dagen na de inspanningstest. Twee dagen na elke test wordt er een telefonisch interview afgenomen bij het kind en ouders. Klinische symptomen van spierschade en fysieke klachten zullen dan nagevraagd worden.

(Onderzoeksprotocol pagina 15-16)

Secundaire uitkomstmaten

niet van toepassing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne Musculaire Dystrofie (DMD) en Becker Musculaire Dystrofie (BMD) worden veroorzaakt door een gebrek of verminderde expressie van het eiwit dystrofine.

Dit leidt tot een progressieve achteruitgang van spierkracht en functionele mogelijkheden gedurende de kinderleeftijd en cardiomyopathie. Er is geen curatieve behandeling, maar het gebruik van corticosteroiden verlengt de periode waarin een kind nog kan lopen. Verschillende nieuwe therapeutische interventies, zoals exon-skipping en fysieke trainingprogramma's, hebben als doel het ziektebeloop positief te beïnvloeden en de fysieke fitheid en het fysiek functioneren te optimaliseren. Om het effect van deze interventies te kunnen evalueren zijn er uitkomstmaten met goede klinimetrische eigenschappen nodig die niet te belastend zijn voor deze specifieke patientengroep.

In de huidige klinische zorg wordt de zes minuten wandeltest (6MWT) gebruikt om de fysieke fitheid van kinderen met DMD en BMD te evalueren. Tevens wordt de 6MWT gebruikt als uitkomstmaat in klinische trials. Er kan echter getwijfeld worden aan de feasibility van de 6MWT bij patienten met musculaire dystrofie op basis van de beschreven hoge valincidentie tijdens de test en de negatieve invloed van de beperkte cognitie van een deel van de kinderen met DMD op de testuitvoering. De cardiopulmonale inspanningstest (CPET) wordt beschouwd als de gouden standaard voor fysieke fitheid en wordt uitgebreid toegepast bij andere pediatrische chronische aandoeningen. De cardiopulmonale inspanningstest is in het verleden nauwelijks onderzocht bij kinderen met DMD en BMD vanwege de angst voor inspanningsgeïnduceerde schade op de skeletspieren en het hart. Echter, verschillende studies bij volwassenen met BMD en kinderen met DMD laten geen nadelige effecten zien van inspanning. Voordat er betrouwbare en valide uitkomstmaten voor fysieke fitheid ontwikkeld kunnen worden om het effect van experimentele behandeling te meten, is er eerst meer inzicht nodig in de uitvoerbaarheid van de 6MWT en de CPET bij kinderen met DMD en BMD

(Onderzoeksprotocol pagina 7)

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om de uitvoerbaarheid van de zes minuten wandeltest (6MWT) en de cardiopulmonale inspanningstest (CPET) als uitkomstmaten voor fysieke fitheid te bepalen bij kinderen met Duchenne Musculaire Dystrofie (DMD) en Becker Musculaire Dystrofie (BMD).

Deze studie richt zich op ambulante kinderen met DMD en BMD. Deze patienten ondervinden frequent problemen met het lopen en vermoeidheid tijdens verplaatsing en zelfverzorging en zijn betrokken bij grote farmacologische en therapeutische interventies gericht op het verbeteren van het fysiek functioneren. Voordat er betrouwbare en valide uitkomstmaten voor fysieke fitheid ontwikkeld kunnen worden om het effect van experimentele behandeling te meten, is er eerst meer inzicht nodig in de uitvoerbaarheid van de 6MWT en de CPET bij kinderen met DMD en BMD

De volgende onderzoeksvragen die beantwoord dienen te worden door dit onderzoek zijn:

parameters uitvoerbaarheid betreffen; testuitvoering, ervaren testbelasting en

nadelige effecten van de test.

1. Is de 6MWT als uitkomstmaat voor fysieke fitheid uitvoerbaar bij ambulante kinderen met DMD en BMD?
2. Is de CPET als uitkomstmaat voor fysieke fitheid uitvoerbaar bij ambulante kinderen met DMD en BMD?

(Onderzoeksprotocol pagina 11-12)

Onderzoeksopzet

pilot studie

Inschatting van belasting en risico

Een studie over de 6MWT bij kinderen met DMD beschrijft een hoge valfrequentie. Daarom wordt er gebruik gemaakt van een 'safety chaser' (een persoon die achter de proefpersoon loopt) die valincidenten tegenhoudt. Er zijn geen aanwijzingen dat er gedurende of na de inspanningstest nadelige effecten optreden. Daarnaast worden er uitgebreide voorzorgsmaatregelen genomen (cardiale evaluatie, monitoring van fysiologische reacties en ervaren belasting) om eventuele risico's tot een minimum te reduceren.

Het voordeel van deze studie op de korte termijn voor de proefpersonen en hun ouders is dat ze een uitgebreid verslag ontvangen van hun fysieke fitheid en hun cardiovasculaire en myogene respons op inspanning. Dit zal bijdragen aan een optimale zorg door ouders en hulpverleners ten aanzien van het fysiek functioneren van de proefpersoon. Op de lange termijn zal dit onderzoek bijdragen aan de ontwikkeling van uitvoerbare en valide uitkomstmaten voor ziektebeloop en het effect van therapeutische interventies

(Onderzoeksprotocol pagina 23)

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
3508 AB Utrecht
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lundlaan 6
3508 AB Utrecht
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Genetisch bevestigde diagnose Duchenne Musculaire Dystrofie of Becker Musculaire Dystrofie
Voldoende instrueerbaar voor inspanningstesten
Informed consent kind en ouders
6-20 jaar
Loopafstand >20 meter zonder hulpmiddelen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

bijkomende medische problemen die mogelijk uitkomsten van testen beïnvloeden
doorgemaakte episode van rhabdomyolyse
onvoldoende hartfunctie voor uitvoering inspanningstest volgens kindercardioloog

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 01-02-2012

Aantal proefpersonen: 10

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 23-01-2012

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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

CCMO

ID

NL38598.041.11