

De effecten fibraat therapie bij 2 patienten met 'neutrale lipiden stapelingsziekte met myopathy' (NLSDM).

Gepubliceerd: 20-07-2011 Laatste bijgewerkt: 27-04-2024

Het doel van dit onderzoek is, om te onderzoeken of behandeling van patienten met NLSDM m.b.t. fibraten gunstige effecten heeft op vetstapeling in de organen, mitochondriële functie en cardiale functie.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON37985

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Fibraat Trail

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
- Lipidenmetabolismestoornissen

Synoniemen aandoening

neutrale lipidenstapelings ziekte met myopathie / erfelijke vetstapelingsstoornis

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universiteit Maastricht

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Fibraat, lipiden stapeling, mitochondriële functie, NLSDM

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

vetstapeling in het hart, lever en de skeletspier en veranderingen in mitochondriële functie

Secundaire uitkomstmaten

insuline gevoeligheid

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

NLSDM is ziekte die veroorzaakt wordt door een defect in het PNPLA2 gen dat codeert voor ATGL. Patienten met NLSDM stapelen vet vertonen spierzwakte, hartfalen en hepatosteatose. De meeste van deze patienten sterven al op jonge leeftijd ten gevolge van deze ziekte. Er is niet veel bekend over het onderliggende mechanisme. In recent onderzoek toonden we aan dat PPAR activatie in ATGL deficiënte muizen het fenotype kan redden. De bevindingen zouden een groot impact kunnen hebben op patienten met NLSDM indien de effecten gevonden in muizen vertaald zouden kunnen worden naar mensen.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is, om te onderzoeken of behandeling van patienten met NLSDM m.b.t. fibraten gunstige effecten heeft op vetstapeling in de organen, mitochondriële functie en cardiale functie.

Onderzoekopzet

In deze interventie studie wordt gekeken naar de effecten van behandeling van patienten met NLSDM met fibraten (Bezafibraat 400mg retard) op vetstapeling en

mitochondriële functie. Hiervoor wordt voor de behandeling een baseline meting gedaan en na behandeling (na 28 weken) wordt de behandeling nogmaals herhaald. Ook hebben we een controle groep toegevoegd aan het protocol, om de grootte van het effect van de behandeling bij patiënten met NLSDM te kunnen beoordelen. Deze controles ondergaan niet de interventie, maar doen enkel de baseline metingen.

Onderzoeksproduct en/of interventie

NLSDM patiënten ontvangen 400mg Bezafibraat een maal daags gedurende 28 weken. Controle proefpersonen ondergaan geen interventie

Inschatting van belasting en risico

NLSDM patiënten worden behandeld door een endocrinoloog in het Azm. Ze komen naar Maastricht voor het monitoren van de effecten van de therapie en de tussentijdse controles. De behandelend arts in Nijmegen wordt natuurlijk wel op de hoogte gehouden van alle bevindingen in de studie.

Alle patiënten en de controle proefpersonen in de studie ondergaan de volgende onderzoeken: Bodpod (voor lichaamssamenstelling), MRI/MRS scans (indien de proefpersoon hiervoor geen contra-indicaties heeft) en een echo, een clamp en een spierbiopsie. De controle proefpersonen zijn klaar na het afronden van deze onderzoeken. De NLSDM patiënten daarentegen zullen via de reguliere zorg hun therapie ontvangen, via de endocrinoloog aan het Azm. Tijdens deze 28 weken worden de bloedwaarden 8 x gecontroleerd en krijgen de proefpersonen tijdens deze controles een vragenlijst over hun welbevinden. Daarnaast doen we 6 x een krachttest en maken we 6x een ECG. Na 12 en na 28 weken komen de patiënten terug naar Maastricht en worden de metingen herhaald. De patiënten bezoeken dus uiteindelijk 8 maal de Universiteit gedurende een periode van 28 weken. Tijdens deze visites wordt 3 maal een hyperinsulinemische-euglycemische clamp uitgevoerd, inclusief een spierbiopsie (elke keer 1), en zullen er 6 MRS-sessies zullen plaatsvinden. De controle proefpersonen komen dus enkel 1x1.5 dag naar de Universiteit waarbij 1 maal een hyperinsulinemische-euglycemische clamp zal worden uitgevoerd, inclusief een spierbiopsie, en 2 MRS-sessies.

Contactpersonen

Publiek

Universiteit Maastricht

Universiteitssingel 50

Maastricht 6200 MD
NL

Wetenschappelijk

Universiteit Maastricht

Universiteitssingel 50
Maastricht 6200 MD
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)

NLSDM:

- Patienten met NLSDM;Controles:
- vrouwelijk geslacht
- tussen 20-45 jaar oud
- BMI tussen 20-30 kg/m²
- gezond (geen chronische ziekten)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

NLSDM:

- n.v.t.;Controles:
- gebruik van fibraten en anti-coagulantia
- Contra-indicaties voor MRI:

- Electronische implantaten zoals pacemakers of neurostimulatoren
- IJzer bevattende corpora aliena in de ogen of het brein
- Gehoorapparaten en kunstkleppen die niet MRI-compatibel zijn,
- Claustrophobie
- Proefpersonen die niet geïnformeerd wensen te worden in het geval van een toevalsbevinding en/of die niet willen dat hun huisarts geïnformeerd wordt over een dergelijke bevinding.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	03-08-2011
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Bezalip retard
Generieke naam:	Bezafibraat
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum:	20-07-2011
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-08-2011
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-12-2011
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-10-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC academisch ziekenhuis Maastricht/Universiteit Maastricht, METC azM/UM (Maastricht)

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
EudraCT	EUCTR2011-001205-27-NL
CCMO	NL35884.068.11