

Een langdurige studie bij Myotone Dystrofie type 1 patiënten met als doel hun kwaliteit van leven te verbeteren

Gepubliceerd: 18-03-2014 Laatste bijgewerkt: 23-04-2024

Onlangs werd door OPTIMISTIC partner 1 aangetoond, dat ernstige vermoeidheid, gedefinieerd als een score gelijk aan of hoger dan 35 op de subschaal vermoeidheid van de Checklist Individual Strength (CIS-vermoeidheid), werd gemeld door ongeveer 70%...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Neuromusculaire aandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON38289

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

OPTIMISTIC

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Ziekte van Steinert

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Overige ondersteuning: Europese Unie

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cognitieve gedrags therapie, Interventie, Myotone Dystrofie, Training

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten (zie bijlage 1 ins tudieprotocol voor het schema *Studie uitkomstmaten*)

De primaire uitkomstmaat zal de DM1-Activ zijn, gemeten aan het einde van de 10 maanden durende interventieperiode. DM1-Activ is een specifieke uitkomstmaat van activiteiten en participatie van patiënten met DM1 [Hermans 2010].

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire uitkomstmaten

Activiteiten (50 min)

- 6-minuten wandeltest (6MWT) met BORG Schaal beoordeling (0-10 Waardering Waargenomen Inspanning score)
- Myotone Dystrofie Gezondheids Index (MDHI)
- Fysieke activiteit gemeten met de actometer Geneactiv (NB: deelnemers nemen de actometer mee naar huis en dragen het 14 dagen achter elkaar).

Vermoeidheid en Slaperigheid (10 min)

- Vermoeidheid en Slaperigheid overdag (FDSS)
- Checklist Individuele Kracht (CIS) vermoeidheid

Kwaliteit van Leven (20 min)

- Geïndividualiseerde Neuromusculaire Kwaliteit van Leven Vragenlijst (InQoL)

Stemming (15 min)

- Beck's Depressie Inventarisatie voor Eerstelijns Gezondheidszorg

Cognitie (20 min)

- Apathie Evaluatie Schaal (AES)
- Strooptest

Maten die worden gebruikt als mogelijke effect modifiers

We zullen een aantal gegevens verzamelen om hun potentieel als modifier van het aangetroffen effect te evalueren in de studie:

- Musculaire Beperking Waardering Schaal (MIRS)
- McGill pijn vragenlijst
- CGT vragenlijsten (Eigen Effectiviteit Schaal voor vermoeidheid (SES-28);

Vermoeidheid Catastrofering Schaal (FCS); Focussen op symptomen (IMmQ); Ziekte acceptatie schaal (IAS); Sociale steun (SSL-D).

- Trail making
- Vragenlijst voor de Inventarisatie van Sociaal gedrag bij Volwassenen (VIS-V)

Identificatie van Biomarkers en uitbreiding van CTG repeats

Er zal bloed worden verzameld op een gestandaardiseerde wijze bij alle geregistreerde 286 DM1 deelnemers aan de studie, 3x 10 ml volbloed monsters en 20 ml urine wordt per patiënt verzameld. Deze zullen worden gebruikt voor biomarker identificatie en genetische werkzaamheden in verband met CTG repeats.

Identificatie van Biomarkers

mRNA en microRNA expressie veranderingen in de serum monsters worden verzameld bij elke deelnemer aan de studie (dwz 286 DM1 patiënten). In het bijzonder zal aandacht worden besteed aan de expressie van kandidaat microRNA-s die belangrijk zijn voor de volgende doelen naast de anderen die uit eerste generatie RNA sequencing cohort studies werden ontdekt:

- insuline-receptor
- spier chloridekanaal
- SERCA1
- RYR1 en
- troponine T

De volgende microRNA doelen zullen worden beoordeeld naast verdere selecties gebaseerd op andere bronnen:

- miR-1
- miR-133b
- miR-29 en
- miR-206

Uitbreiding van CTG repeats

De verzamelde bloedmonsters voor DNA -extractie worden ook verzameld bij de basislijn en aan het einde van de observatieperiode (dwz 16 maanden na het begin van de interventie of controle). Ook historische DNA-monsters worden verzameld, indien beschikbaar voor informatie analyse van progressie van de

ziekte. DM1 wordt veroorzaakt door de expansie van CTG repeats in het DMPK-gen. De ernst van de ziekte is gecorreleerd met het aantal herhalingen. Echter, de CTG herhalingen zijn erg onstabiel en het aantal herhalingen verandert van de ene generatie naar de volgende en gedurende het hele leven. Recente data hebben aangetoond dat de belangrijkste modifier met betrekking tot de ernst van de ziekte is het aantal geërfde CTG herhalingen en dat ernst van de ziekte verder wordt gemodificeerd door de individuele specifieke snelheid van somatische expansie (Morales et al., 2012, Higham et al., 2012). De tijdreeks van de verzamelde DNA monsters worden gebruikt om het aantal geërfde herhalingen te meten en de mate van verandering te volgen van de repeatlengte in de tijd bij elke patiënt.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

DM1 is zowel een zeldzame, erfelijke als progressieve ziekte en een autosomaal dominant multi systemische aandoening. Het is de meest voorkomende vorm van adulte spierdystrofie, met een prevalentie van ongeveer 10 per 100.000 mensen die worden getroffen (Norwood 2009, Norman 1989). Met 733 miljoen mensen in Europa, schatten we dat er 75.000 DM1 patiënten in Europa zijn (Europese Commissie 2011). Typische symptomen van de ziekte zijn progressieve spierzwakte en atrofie van distaal naar proximaal, ptosis, spierzwakte van het gezicht, kaak en voorste nekspieren, myotonie, slaperigheid overdag, vermoeidheid en cataract. Andere symptomen van volwassen DM1 omvatten zowel cardiale geleidingsstoornissen als endocriene, als gastro-intestinale en cognitieve dysfunctie. DM1 is een van de meest variabele menselijke ziekten, kent complexe, multisystemische en progressieve verslechtering van klinische verschijnselen en leidt tot ernstige fysieke beperking, beperkte sociale participatie en vroegtijdige dood (Gagnon 2008; Kierkegaard 2011).

Er bestaat geen farmaceutische behandeling voor causale of symptomatische verlichting van DM1 kernsymptomen (behalve van Modafinil voor overmatige slaperigheid overdag). Aldus is het doel van de behandeling de stoornissen te

verlichten, beperkingen te verminderen en participatie te optimaliseren. Fysieke activiteit wordt gezien als een belangrijke factor voor de gezondheid in het algemeen. Voor patiënten met een langzaam progressieve neuromusculaire aandoening, zoals DM1, is er een groeiend bewijs voor het voorschrijven van lage-tot-matige-intensiteit van kracht en aërobe inspanningstraining, en een actieve levensstijl (Cup 2007, Pedersen 2006). Toch concluderen recente beoordelingen dat bestaande studies beperkt zijn in aantal en kwaliteit, en dat er behoefte is aan ziekte-specifieke, gerandomiseerde gecontroleerde trials die het effect op de kwaliteit van leven onderzoeken (Cup 2007, Voet 2010, Voet 2013).

Doel van het onderzoek

Onlangs werd door OPTIMISTIC partner 1 aangetoond, dat ernstige vermoeidheid, gedefinieerd als een score gelijk aan of hoger dan 35 op de subschaal vermoeidheid van de Checklist Individual Strength (CIS-vermoeidheid), werd gemeld door ongeveer 70% van de patiënten met DM1 (Kalkman 2005). Deze ernstig vermoeide patiënten hadden meer problemen met fysiek en sociaal functioneren, alsook met hun mentale en algemene gezondheid dan vergelijkbare patiënten zonder ernstige vermoeidheid. Ze hadden ook meer problemen met concentratie en planning. Als zodanig moet ervaren vermoeidheid duidelijk worden onderscheiden van spierzwakte, dat waarschijnlijk het meest voorkomende en kenmerkende symptoom van DM1 is en ook van een gebrek aan initiatief (apathie) waarvan bekend is dat het vaak voorkomt bij DM1.

In een longitudinale studie, bouwden we een model van aanhoudende factoren voor vermoeidheid bij patiënten met DM1 (figuur 1). Het bleek dat een gebrek aan lichamelijke activiteit, slaapstoornissen en pijn allemaal bijgedragen tot de ervaren vermoeidheid. Daarnaast dragen verlies van spierkracht en pijn bij aan vermoeidheid door een lager niveau van lichaamsbeweging. Tenslotte dragen zowel ervaren vermoeidheid als lichamelijke activiteit bij aan het niveau van maatschappelijke participatie (Kalkman 2007). Een gebrek aan initiatief (motivatie in het model van figuur 1), verder toegenomen vermoeidheid, hadden ook een direct negatief effect op de maatschappelijke participatie. Dus, theoretisch gezien, om de maatschappelijke participatie te verbeteren moet men compenseren voor een afgenomen initiatief, het optimaliseren van lichaamsbeweging en de ervaren vermoeidheid verlichten. Om vermoeidheid te verlichten moet men de geïdentificeerde factoren in het model die vermoeidheid in standhouden, bijvoorbeeld ervaring van pijn of slaapstoornissen.

Figuur 1 Determinanten van de gezondheidstoestand bij DM1. Inspannings training met als doel om fysieke activiteit te verbeteren, terwijl de cognitieve gedragstherapie het doel heeft om een actieve leefstijl te stimuleren door het aanpakken van instandhoudende factoren van vermoeidheid, zoals gebrek aan lichamelijke activiteit, motivatie, pijn en slaapstoornissen en ook door patiënten te leren om te compenseren bij een gebrek aan initiatief (motivatie).

De belangrijkste reden voor de combinatie van CGT en beweging is gebaseerd op ons DM1-specifieke model (Kalkman 2007) (Figuur 1). Het DM1-specifieke model laat zien dat lichamelijke activiteit, ervaren vermoeidheid en gebrek aan initiatief de belangrijkste determinanten zijn van de gezondheidstoestand bij DM1. OPTIMISTIC is de eerste modelgebaseerde klinische trial bij DM1. Het evalueert de werking en de handhaving van de effecten, van CGT in combinatie met inspanningstraining op de reductie van chronische vermoeidheid bij patiënten met DM1.

Belangrijk is dat de interventie ook de zorgverleners erbij zal betrekken, als ze bereid zijn om deel te nemen. De beperkingen geassocieerd met DM1 zet aanzienlijke druk op de zorgverleners en kan ook leiden tot een negatieve interactie met de patiënt. De interventie zal gericht zijn om zorgverleners te ondersteunen door het neer zetten van realistische verwachtingen over wat mag worden verwacht van de patiënt, de zorgverleners te leren hoe patiënten te helpen zo lang mogelijk zelfstandig te blijven en ook om bij zorgverleners de spanning te verminderen door tijd te nemen voor zichzelf. Als een DM1 patiënt geen zorgverlener heeft of belangrijke andere, die bereid is om deel te nemen aan de studie, zal de patiënt niet worden uitgesloten van de studie. Alle patiënten worden gevraagd als het studie team hen kan benaderen om hen te informeren voor verder onderzoek. Dit contact vormt geen toestemming.

Onderzoeksopzet

2.1 STUDIE BESCHRIJVING

OPTIMISTIC is een twee-arm, multi-center, gerandomiseerd gecontroleerde trial, ontworpen om een op maat gesneden gedragsverandering interventie te vergelijken met de standaard patiënt behandelings regimes. Verwacht wordt dat het proces en de werkuitkomst zullen leiden tot nieuwe klinische richtlijnen voor DM1 management. De interventie bestaat uit cognitieve gedragstherapie (CGT) en graded fysieke activiteit, die beide tot doel hebben om een actievere levensstijl te bereiken. Graded activity betekent een gedragsmatige behandelmethode voor paramedici

De effectiviteit van deze interventie, samen met een enkele bijwerking die geassocieerd is met de interventie, wordt vergeleken met de standaard patientenzorg. De uitkomstmaten worden gemeten bij baseline, 5 maanden, 10 maanden (het einde van de interventie periode) en bij 6-maanden na interventie (d.w.z. 16 maanden vanaf baseline, Figuur 2).

Figuur 2 Weg Patient OPTIMISTIC bladzijde 11 studieprotocol

Figuur 3 Studie Flow chart bladzijde 12 studieprotocol

SCHEMA TRIAL OUTCOME METINGEN Zie Bijlage 1.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Interventie 5.1 Interventie Gedragsverandering In de OPTIMISTIC STUDIE ontvangen

patienten in de behandelings arm cognitieve gedrags therapie (CGT). CGT is bedoeld om het niveau van de handicap van patienten te verlagen door drie kernproblemen van denken over een handicap aan te pakken: 1) ernstige vermoeidheid; 2) een verminderd initiatief en 3) suboptimale interactie met belangrijke anderen. Aangenomen wordt dat CGT deze problemen vermindert en aldus mogelijk maakt dat DM1 patiënten actiever worden. De interventie is gebaseerd op een model van vermoeidheid en onvermogen bij DM1 en evidence-based interventies van cognitieve gedrag voor patiënten met andere chronische medische condities. Deelnemers van de interventie groep ontvangen gewoon hun standaard klinische zorg zoals hun behandelende artsen dit nodig achten. Noot: enkele delen van de interventie zijn bedoeld voor de mantelzorger of betekenisvolle andere. Als een DM1 patient geen mantelzorger of belangrijke ander heeft of geen belangrijke ander heeft die deel wil nemen aan de studie, wordt de patient NIET geëxcludeerd van de studie. Korthedshalve zullen we 'mantelzorgerr' gebruiken in de hierop volgende tekst, maar hieronder moet worden verstaan 'partner of betekenisvolle andere'. CGT bestaat uit zes verschillende modules. Alle patienten zullen starten met het stellen van individuele doelen en psycho-educatie over de rol van cognitieve gedragsmatige variabelen in de ervaring van de patient's handicaps. De patient formuleert zijn of haar behandelingsdoelen in concrete termen en later tijdens de behandeling worden de doelen stap voor stap door de patient gerealiseerd. De behandeling is toegesneden op de problemen van de patient: welke van de zes de patient zal ontvangen hangt af van de gemeten scores van de metingen tijdens de baseline beoordeling. De extra metingen voor de baseline beoordeling duren ongeveer 40 minuten. De metingen worden gebruikt voor belangrijke elementen die belangrijk zijn voor CGT. Zij geven de richting aan voor de interventie. De extra metingen stellen ons in staat om medicatie analyse te doen om te bepalen in welke mate de veranderingen in cognities en gedrag een bemiddelende rol spelen bij de te verwachte positieve effecten van de interventie op de uitkomstmaten. Wanneer een patient niet in staat is om vragenlijsten in te vullen dan is het onwaarschijnlijk dat de patient kan profiteren van de interventie en zal niet worden gerandomiseerd. Gebaseerd op onze eerdere ervaring met modulaire interventies verwachten we dat de meeste patienten minder dan vier modules ontvangen. De zes modules zijn: 1. Leren te compenseren bij afgenomen initiatief. Na de psycho-educatie leren patienten hoe te compenseren bij een afgenomen initiatief door cues te gebruiken om een activiteit te starten. Voorbeelden van deze cues zijn het gebruiken van een dagboek, mobiele telefoon met een alarm of het plannen van activiteiten. Aan zorgverleners wordt ook geleerd hoe gedrag getipt kan worden en op welke wijze de patient gestimuleerd kan worden om de cues te gebruiken. Het doel van de module is de patient te helpen om meer activiteiten te starten. Deze module is geïndiceerd als de patient een score hoger dan 38 heeft op de Apathy Evaluation Scale (AES). De AES wordt ingevuld door de zorgverlener en/of de CGT therapeut tijdens de intake sessie. De zorgverlener wordt gevraagd aan de interventie deel te nemen en om enkele vragenlijsten in te vullen. Echter wanneer de zorgverlener weigert of niet kan deelnemen, kan de patient nog steeds deelnemen aan de studie. 2. Suboptimale interactie met mantelzorgers. De handicaps geassocieerd met DM1 zetten grote druk op mantelzorgers en kunnen ook leiden tot een negatieve interactie met de patiënt. De patient kan zich ook niet begrepen voelen door anderen, wat verder de interactie met anderen belemmert. Het doel van deze module is het optimaliseren van de interactie met mantelzorgers door realistische verwachtingen te scheppen over wat van de patient kan worden verwacht, het leren aan zorgverleners hoe ze patiënten kunnen helpen om zo lang mogelijk zelfstandig te blijven en ook om de druk bij de mantelzorgers te verminderen door tijd voor zichzelf te nemen. De

verwachtingen van de patient over ondersteuning door anderen wordt besproken en de patient wordt gevraagd om adequaat hulp te vragen waar dat mogelijk is. Deze module is geïndiceerd wanneer: 1) een score van 7 of hoger op de Caregiver Strain Index (CSI) of 2) de partner en/of patient scores 60 of lager op de Marital Satisfaction VAS of 3) de patient scoort 14 of hoger verschil op de subschaal (SSI-D) van de social support inventory (korte versie). De volgende vier modules zijn special bedoeld voor vermoeidheid in stand houdende gedragingen en overtuigingen: 3. Regulering van het slaap-waak-patroon. De belangrijkheid van een regelmatig slaap-waak ritme en een goede slaap hygiëne worden besproken, en er worden instructies gegeven om beide te verbeteren. Bij baseline registreren patienten de tijd van het naar bed gaan, het tijdstip van opstaan en het slapen gedurende de dag gedurende twee weken. Dit wordt door patienten genoteerd in een dagboek. Dit wordt weergegeven in een staafdiagram om onregelmatigheden te visualiseren in de slaap-waak cyclus van de patiënt. Deze module is geïndiceerd wanneer de patient een onregelmatig slaap-waak ritme en/of scores van 60 of hoger heeft op de subschaal slaap van de Sickness Impact Profile (SIP). 4. Herformulering van disfunctionele cognities met betrekking tot vermoeidheid en/of DM1. Bij aanvang wordt het gevoel van controle over vermoeidheids symptomen, het catastroferen van vermoeidheid en de neiging zich te richten op vermoeidheid beoordeeld. Deze module is geïndiceerd als een patient een problematische score heeft bij een van beide volgende instrumenten: Self-efficacy Scale for fatigue (score 19 of lager), en de Fatigue Catastrophising Scale (score 16 of hoger) of een score van 4 of hoger op de Illness Management vragenlijst. Helpende overtuigingen met betrekking tot vermoeidheid worden geformuleerd en de patient brengt ze in praktijk. Patienten zullen ook oefenen met het ombuigen van de focus van de aandacht op vermoeidheid naar andere activiteit en sensaties. Wanneer een patient disfunctionele overtuigingen heeft over ziekte, bijvoorbeeld problemen heeft met het accepteren van het feit ziek te zijn, worden helpende overtuigingen geformuleerd. Deze interventie wordt gedaan als een patient scores heeft in de problematische range op de Pictorial Representation of Self and Illness Measure (PRISM), de Beck Depression Inventory (BDI-PC ≥ 4) of subscale Illness acceptance (≤ 12). 5. Activiteiten regulering en graded activity. Fysieke activiteit wordt beoordeeld door een actometer te dragen aan enkel of pols. (GeneActiv / Kinesense of vergelijkbaar CE keurmerk apparaat). Het apparaat is niet zwaar, waterproof en is gemaakt om langdurig te dragen. Het wordt vaak gedragen door mannelijke en vrouwelijke sporters om progressie in activiteit te meten. Volledig gedetailleerde instructies worden aan de patient bij baseline visit gegeven. Het apparaat wordt bevestigd met een niet-metalen armband en patienten worden geïnstrueerd dat ze het 14 dagen continu moeten dragen maar dat het als het nodig is gemakkelijk kan worden verwijderd door de armband met een schaar door te knippen. De actometer wordt 14-dagen gedragen na de baseline beoordeling om te bepalen welke activiteit maatregelen zijn getroffen. Relatief actieve patienten moeten eerst hun activiteiten beter verdelen, gelijkmatig gevolgd door een geleidelijke toename van de fysieke activiteit. Bij baseline kiezen patienten een activiteiten programma met een mentor, ofwel een lage intensiteit, graded bewegingsprogramma en een trainingsprogramma gericht op het verhogen van lichamelijke fitness: a. een programma gericht op het geleidelijk verhogen van de tijd dat ze wandelen, OF b. een trainingsprogramma gericht op het verhogen van hun lichamelijke conditie. Het trainingsprogramma zal worden vastgesteld door de begeleiding, maar zal zich richten op de integratie van matige intensiteits oefeningen zoals wandelen, fietsen, jogging of dansen voor minstens een half uur, drie keer per week. Nadat de deelnemers hun fysieke activiteiten niveau of conditie hebben verhoogd, zullen zij starten

met het verhogen van andere activiteiten om hun doelen te bereiken. De Actometer Het apparaat wordt gedurende 14 dagen continu gedragen na baseline en bij 5 maanden, 10 en 16. Extra gebruik kan ook door de begeleiding worden voorgesteld om bij de gedragsverandering te helpen. Het apparaat wordt bevestigd tijdens een visit, gedragen gedurende 14 dagen, verwijderd en geretourneerd naar de studie site per post in een geadresseerde gefrankeerde en gewatteerde envelop. De actometer zelf is een tri-axial STMicroelectronische accelerometer en de acceleratie zal worden verzameld bij 50 Hz. Ruwe data wordt overgedragen door USB naar de PC en de analyse overeenkomstig met de ID van de betreffende patient en MOVEeCloud. Niet-gedragen tijd De resultaten voor een bepaalde periode van 14 dagen zijn ongeldig indien de niet-gedragen tijd meer dan 50% bedraagt. Waarbij de niet-gedragen tijd minder is dan 50% kunnen de resultaten toch worden gebruikt en de niet-gedragen tijd zal worden geboekt door berekening van de niet-gedragen tijd met behulp van beschikbare overeenkomstige tijd data op hetzelfde tijdstip op andere dagen van de betreffende deelnemer. Controle Degenen die niet zijn ingeloot in de interventie worden ook uitgenodigd om de actometer te dragen gedurende 14 dagen meteen na de visits op baseline, 5 maanden, 10 en 16. De actometer zal worden geretourneerd via de post op dezelfde manier als bij de interventie deelnemers groep. 6. Omgaan met pijn met een focus op disfunctionele cognities met betrekking tot pijn. Disfunctionele pijn cognities worden besproken. Meer helpende pijn gerelateerde cognities worden geïnstalleerd. Deze module is geïndiceerd wanneer de patient een problematische score heeft op de SF36 pijn subschaal (score lager dan 60) of 44 op de VAS pijn. De interventie zal worden geleverd door therapeuten die een intensieve training hebben gehad en een gestandaardiseerde behandelings handboek zal worden gebruikt dat is ontwikkeld door het OPTIMISTIC team. Voorafgaand aan deelname aan de >graded activity> (een gedragsmatige behandelingsmethode voor paramedici) module, vormt de behandelend arts zich een oordeel in welke mate de deelnemer lichamelijke activiteit veilig kan doen, hetgeen wordt medegedeeld aan de therapeuten. De therapeuten zullen gedurende de proef in contact blijven met de behandelend arts om eventuele wijzigingen te bespreken. De Therapeuten en / of de Research Verpleegkundige kunnen de behandelend arts / onderzoeker op elk gewenst moment vragen de patiënt te beoordelen net als elk ander lid van het onderzoeksteam, de patiënt zelf of de verzorger die zich zorgen maakt. Indien nodig wordt de huisarts van de patiënt geïnformeerd. De deelnemers ontvangen een werkboek met belangrijke informatie en opdrachten. Indien het nodig wordt geacht voor een patiënt kan een lidmaatschap worden gegeven van de sportschool om te helpen met hun doelen. Als deelnemers hun toestemming geven, zullen de sessies via audioband worden opgenomen en uitgetypt. De verslagen worden geanonimiseerd. De audio-opnames worden veilig opgeslagen op de lokale sites en vernietigd volgens de geldende wettelijke eisen. Tussen de sessies door maken de deelnemers >huis-werk> opdrachten die worden besproken tijdens de volgende sessie. Als mantelzorgers betrokken zijn bij de interventie, worden zij gevraagd de patient te ondersteunen bij de uitvoering van deze opdrachten. De integriteit van de behandeling wordt vastgesteld door ervaren cognitieve gedragstherapie, die onafhankelijk een willekeurige selectie van de sessies zullen waarderen. Gedurende de interventieperiode worden de deelnemers tenminste een keer per week gebeld tussen de sessies door om hen er aan te herinneren het huiswerk te maken en bij de sessies aanwezig te zijn. Wanneer het nodig wordt geacht en middelen laten het toe worden de deelnemers thuis bezocht om therapietrouw te bevorderen en te ondersteunen waar nodig. De interventie loopt 10 maanden maar is >front-loaded>, dat houdt in dat de eerste vier maanden worden

beschouwd als >actieve> fase en de resterende zes maanden als de >boost> fase. In deze periode van tien maanden krijgt de patient 10-14 sessies, tenminste 5 van de sessies zijn face to face sessies. Wat betreft de overige sessies kan de therapeut besluiten, afhankelijk van de reisafstand en de mobiliteit van de patient, om telefonisch contact of video conferentie te gebruiken als een alternatief. Bovendien zullen alle therapeuten om de twee weken een support call ontvangen via de telefoon van een ervaren cognitief gedragstherapeut uit het OPTIMISTIC team, met extra ondersteuning beschikbaar via e-mail.

5.2 Vergelijking Standaard zorg is de gebruikelijke zorg in de deelnemende site. Dit zal variëren per site en volgens de individuele symptomen van de patient, maar het minimum zal in het algemeen een jaarlijks bezoek en een ECG zijn. Andere zorg zou passende anamnese, lichamelijk onderzoek, ECG/ EKG (of meer diepgaande cardiologisch onderzoek), long en gastrointestinaal onderzoek, en revalidatie metingen kunnen zijn. Alle deelnemers van de controle groep zullen de studie site bij baseline, 5 maanden, 10 en 16 na interventie (dwz. 16 maanden na baseline) bezoeken voor de metingen zoals zijn beschreven in bijlage 1.

Inschatting van belasting en risico

De patiënten moeten extra bezoeken afleggen aan de polikliniek of andere onderzoeksruimtes van het ziekenhuis. Daarnaast brengt het bloedprikken soms wat ongemak voor een individuele patient met zich mee. Er moeten vragen(lijsten) worden ingevuld over symptomen van de ziekte Myotone dystrofie. De patient moet vier keer een periode van 14 dagen achter elkaar een actometer (*horlogeachtig*) aan de enkel dragen die beweging waarneemt. Het dragen van die actometer zou voor wat ongemak in het dagelijkse leven kunnen zorgen. En bij de interventiegroep zou de mate van vermoeidheid tijdelijk kunnen toenemen, omdat men meer gaat bewegen.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Reinier Postlaan 4
NIJMEGEN 6525 GC
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Reinier Postlaan 4
NIJMEGEN 6525 GC

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)

Patienten met myotone dystrofie type 1, in dna vastgesteld

Ouder dan 18 jaar

CIS fatigue score >35

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Ernstige depressie bij screening

Neurologische of orthopedische co-morbiditeit

Niet in staat om vragenlijsten in te vullen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Onderzoeksmodel: Anders

Toewijzing: Gerandomiseerd

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Organisatorisch/zorgonderzoek

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-02-2014
Aantal proefpersonen:	72
Type:	Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-03-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-05-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-10-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-12-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-12-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-02-2015
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-08-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Afgewezen	
Datum:	09-12-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	07-03-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-06-2016
Soort:	Amendement
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	NL46914.091.13