

VALIDATIE VAN DE INTERNATIONAL PAEDIATRIC MITOCHONDRIAL DISEASE SCORE

Gepubliceerd: 27-08-2013 Laatste bijgewerkt: 22-04-2024

De betrouwbaarheid en validiteit van de IPMDS testen bij kinderen met mitochondriale aandoeningen.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON38747

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

INTERNATIONAL PAEDIATRIC MITOCHONDRIAL DISEASE SCORE

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

Synoniemen aandoening

Energiestofwisselingsziekte mitochondriële aandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Overige ondersteuning: Zonmw

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Followup, Kinderen, Mitochondriële ziekten, Scoresysteem

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste studie eindpunten zijn de (inter-en intratester) betrouwbaarheid en (construct- en externe) validiteit van de IPMDS.

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De momenteel gebruikte Newcastle Paediatric Mitochondrial Disease Scale (NPMDS) is ontworpen om patiënten te vervolgen op de polikliniek. De lijst is snel af te nemen, maar daardoor ontbreekt aan detail en is de lijst naar onze mening dan ook niet geschikt voor klinische studies. We ontwierpen een nieuw, meer gedetailleerd scoresysteem (de International Pediatric Mitochondrial Disease Score (IPMDS)) voor het gedetailleerd vervolgen van kinderen met een mitochondriale aandoening in klinische studies.

Doel van het onderzoek

De betrouwbaarheid en validiteit van de IPMDS testen bij kinderen met mitochondriale aandoeningen.

Onderzoekopzet

Het onderzoek vindt plaats op de polikliniek, waar vier onafhankelijke artsen die betrokken zijn bij de zorg voor patiënten met mitochondriale aandoeningen de test (interbeoordelaarsbetrouwbaarheid) zullen voeren. Twee artsen zullen worden gefilmd en zullen de video na vier weken (intratester betrouwbaarheid) weer scoren. De constructvaliditeit wordt berekend door het correleren met de "oude" NPMDS schaal, met de Paediatric Evaluatie van Disability Inventory (PEDI) score en de gemiddelde ernst score (Likert-schaal 0-10, gescoord door iedere arts). Externe validiteit en interbeoordelaarsbetrouwbaarheid zal worden getest in diverse klinieken gespecialiseerd in mitochondriale aandoeningen over

de hele wereld. Test-hertest betrouwbaarheid wordt beoordeeld voor uitsluitend het subjectieve domein.

Inschatting van belasting en risico

Patiënten worden gevraagd voor een bezoek aan de polikliniek voor deelname aan deze studie. Ze zullen vier artsen zien, die hen ongeveer dezelfde vragen stellen en hetzelfde lichamelijk onderzoek uitvoeren. Omdat patiënten met een mitochondriële aandoening snel moe zijn, zal deze studie belastend voor hen zijn. We zullen de vermoeidheid beperken door regelmatig te pauzeren. De belasting voor de ouders zal ook vrij hoog zijn, omdat ze dezelfde vragen vier tot zes keer te horen krijgen die dag. We zullen dit toelichten in onze uitnodigingsbrief zodat patiënten en hun ouders zelf kunnen beslissen of ze willen deelnemen.

De risico's verbonden aan deze studie zijn te verwaarlozen, omdat er geen invasieve procedures of ingrepen worden gedaan. Aangezien dit onderzoek tot doel heeft een scoresysteem specifiek voor deze specifieke doelgroep te valideren, kan het onderzoek niet worden uitgevoerd bij volwassenen of gezonde kinderen. Het enige voordeel van deze studie voor de patient is een meer compleet overzicht van de gezondheidstoestand van de patiënt dan kan worden verkregen op een reguliere polikliniek bezoek. Daarom zal een samenvatting geschreven worden van alle bevindingen en zal deze verspreid worden aan alle artsen die de zorg voor de patiënt delen.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Geert Grooteplein 10 route 804
Nijmegen 6500HB
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Geert Grooteplein 10 route 804
Nijmegen 6500HB
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

0-18 jaar

Mitochondriële ziekte, bevestigd in mitochondrieel of nucleair DNA

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

de studie is te belastend

onvoldoende kennis van de Nederlandse taal

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:	22-11-2013
Aantal proefpersonen:	8
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-08-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-10-2014
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	NL44833.091.13