

Niet-invasieve bepaling van de aangedaanheid van de spieren in Duchenne spierdystrofie

Gepubliceerd: 08-07-2009 Laatste bijgewerkt: 06-05-2024

Het ontwikkelen van non-invasieve markers voor weefselveranderingen in de skelet spieren met behulp van MR methoden

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON39843

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MRI van de skeletspieren in DMD

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

de ziekte van Duchenne, Duchenne Spier Dystrofie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Prinses Beatrixfonds

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Duchenne spierdystrofie, MRI, Spierstatus

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Kwantitatieve bepaling van pathologische veranderingen in de skeletspieren van

DMD patienten door bepaling van:

- de mate van vervetting
- T2 relaxatie parameters als marker voor spier oedeem
- individueel spier volume

Secundaire uitkomstmaten

Variatie van MR parameters tussen de verschillende spieren, of tussen de

verschillende leeftijden in DMD patienten

Correlatie van MR parameters met krachtmetingen

Verschillen in T2 relaxatie parameters tussen corticosteroid gebruikers en niet gebruikers

Toepassing van andere MR spier parameters, waaronder diffusie tensor imaging

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne spier dystrofie (DMD) is een invaliderende ziekte die wordt veroorzaakt door mutaties in het dystrofine gen. De ziekte wordt gekarakteriseerd door ernstige en progressieve spierzwakte en patienten met DMD hebben een afname in de levensverwachting tot ongeveer 27 jaar.

De Leiden Duchenne onderzoeksgroep heeft recentelijk voor het eerst aangetoond dat dystrofine expressie in skeletspieren van mensen succesvol hersteld kan worden. Voor de verdere ontwikkeling van therapieën is het noodzakelijk dat er een non-invasieve methode ontwikkeld wordt die in staat is om weefsel

veranderingen in de skeletspier op een kwantitatieve manier vast te stellen. Voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen voor DMD is het noodzakelijk om herhaaldelijk accurate metingen te doen van veranderingen in de skeletspieren. De huidige gouden standaard, een spierbiopsie, geeft alleen lokale informatie, is invasief en het is niet wenselijk om een biopsie vaak toe te passen, met name in kinderen. De huidige CT en MRI technieken analyseren alleen kleine specifieke gebieden van de spieren met een niet kwantitatieve techniek. Een niet-invasieve en kwantitatieve method om veranderingen in spierweefsel te meten is noodzakelijk om de lange termijn effecten van de effectiviteit van therapieën op een accurate manier vast te stellen.

Binnenkort is het een jaar geleden dat de experimentele behandeling uit de OLE studie is beëindigd en zijn er vergevorderde plannen om de toediening aan deze jongens opnieuw aan te bieden. Met het oog op het mogelijke effect van de experimentele behandeling op het ontstekingsproces en de vervetting in de spieren biedt het addendum een unieke kans om de klinische toepasbaarheid van deze ontwikkelde non-invasieve MRI techniek verder te evalueren in de doelgroep. Hierdoor wordt de MRI als uitkomstmaat optimaal getoetst.

Doel van het onderzoek

Het ontwikkelen van non-invasieve markers voor weefselveranderingen in de skelet spieren met behulp van MR methoden

Onderzoeksoptzet

Observationeel, case-controle studie

Inschatting van belasting en risico

Er zijn geen risico's bekend voor de deelname aan een MRI studie. Proefpersonen met intra-craniale of intra-oculaire metalen, een pacemaker of claustrofobie zullen worden geëxcludeerd in verband met potentiële contra-indicaties in deze deelnemers. De Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde Gedragscode verzet bij minderjarigen die deelnemen aan medisch-wetenschappelijk onderzoek zal worden toegepast in deze studie.

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2

Leiden 2333 ZA
NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
Leiden 2333 ZA
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)

Patienten met Duchenne spier dystrofie van 8 jaar en ouder met typische spierzwakheid en een bekende genetische mutatie in het dystrofine gen
Gezonde jongens van 8 jaar en ouder vormen de controle groep

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Algemene exclusie criteria:

- claustrofobie
- pacemakers en defibrillatoren
- zenuwstimulatoren

- intracraniale clips
- intraorbitale of intraoculaire metaaldeeltjes
- cochleaire implantaten
- ferromagnetische implantaten (bijvoorbeeld thoracaal implantaat voor scoliose)
- beperking om minimaal 60 minuten stil op de rug te liggen ;Exclusie criteria voor gezonde controles:
- het hebben van een spierziekte
- recent spier trauma

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blindering:	Open / niet geblindeerd

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	01-11-2009
Aantal proefpersonen:	60
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-07-2009
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-04-2012
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-11-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-11-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	31-08-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

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	NL28198.058.09

Resultaten

Einddatum onderzoek:	16-03-2016
Totaal aantal deelnemers:	38

Samenvatting resultaten

Trial is ongoing in other countries