

De haalbaarheid, betrouwbaarheid en validiteit van de MOX-accelerometer voor het meten van lichamelijke duurconditie bij patiënten met een mitochondriële ziekte

Gepubliceerd: 10-02-2015 Laatste bijgewerkt: 21-04-2024

Het doel van deze studie is het bepalen van de haalbaarheid, betrouwbaarheid en validiteit van de MOX-accelerometer in patiënten met een mitochondriële ziekte.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON40669

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

De MOX-accelerometer bij kinderen met een mitochondriële ziekte

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal

Synoniemen aandoening

energiestofwisselingsziekte, mitopathie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Overige ondersteuning: ZonMW AGIKO S. Koene, Mogelijk Stofwisselkracht (uitslag volgt 1-10-2014)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Accelerometer, Bewegingspatroon, Mitochondriële ziekte, Uitkomstmaat

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaat is de haalbaarheid, betrouwbaarheid en validiteit van de door de MOX-accelerometer gemeten duur, frequentie, intensiteit en soort beweging bij kinderen met een mitochondriële ziekte.

Secundaire uitkomstmaten

De data worden gevalideerd ten opzichte van een gestandaardiseerd protocol en daarnaast op subjectieve activiteit - en welzijn scores (gerapporteerd door ouders) voor validatie. De test-retest betrouwbaarheid wordt bepaald door een subset van de kinderen twee keer te meten. Confounders zoals het weer en BMI van ouders worden, zowel bij de gezonde als de zieke kinderen, meegenomen in de analyse. De Gross Motor Function Measure, the Tardieu spasticiteitstest en de PEDI zullen gebruikt worden om een beeld te geven van het functioneren van het kind.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Mitochondriële ziekten, erfelijke stoornissen in de energieproductie van de cel, zijn de meest voorkomende erfelijke metabole ziekten. Dit gebrek aan energie uit zich in de minder aangedane patiënten vaak als inspanningsintolerantie en vermoeidheid, in meer aangedane patiënten in lage belastbaarheid en een aangepast leefpatroon met veel rust en weinig activiteit.

Aangezien er steeds meer klinisch interventie onderzoek wordt gedaan in deze ziekten, waarbij met name de patiënten worden geselecteerd die ernstig zijn aangedaan, zijn goede uitkomstmaten van groot belang. Echter, omdat veel van deze patiënten zowel fysiek als mentaal ernstig beperkt zijn en soms weinig contact hebben met de wereld om zich heen, is dit een hele uitdaging!

Deze studie exploreert een methode om *duurconditie* (het vermogen dagelijkse activiteiten vol te houden of de balans tussen rust en activiteit gedurende de dag) te meten in kinderen die ernstig mentaal of fysiek beperkt zijn. Wij zullen dit doen met een accelerometeor. Dit is een 3 dimensionale bewegingsdetector, welke de duur, frequentie, intensiteit en soort van bewegingen kunnen meten. De MOX-accelerometer, een 3 dimensionale bewegingsdetector ontwikkeld in samenwerking met Maastricht UMC, was bij patiënten met Leigh syndroom (een ernstige mitochondriële ziekte) in staat te onderscheiden tussen verschillende fasen van de ziekte (lopend - in rolstoel - niet meer in staat te bewegen).

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie het bepalen van de haalbaarheid, betrouwbaarheid en validiteit van de MOX-accelerometer in patiënten met een mitochondriële ziekte.

Onderzoekopzet

Er zal gekeken worden naar het bewegingspatroon gedurende een weekend. Voor de meters worden bevestigd, wordt de patiënt in kaart gebracht met de Gross Motor Function Measure en de Tardieu spasticiteit test. De meter zal eerst bij de individuele patiënt gevalideerd worden aan de hand van een gestandaardiseerd protocol waarin een variatie aan bewegingen wordt geobserveerd en uitgelokt. Vervolgens wordt de patiënt gevraagd de MOX-accelerometer gedurende ten minste twee hele dagen te dragen, waarmee wij een indicatie krijgen van de frequentie, intensiteit en duur van bewegingen. Ouders/begeleiders houden tijdens deze dagen een dagboekje bij waarin elk uur het activiteiten niveau en de mate van welzijn wordt weergegeven. Hetzelfde protocol zal gevolgd worden bij gezonde controles; echter dan wordt de uitgebreide test van het motorisch functioneren niet uitgevoerd en hoeven ouders geen cijfer aan de activiteit en het welzijn van het kind te geven. Vijf patiënten en 6 gezonde controles zullen in een ander seizoen (na ongeveer 3 maanden) opnieuw gemeten worden om de betrouwbaarheid van serieel meten te bepalen. Na het weekend wordt ouders/kind telefonisch gevraagd hoe het dragen van de meters bevallen is en wordt de PEDI, een schaal waarmee zelfstandigheid bij de verzorging gescoord wordt, afgenomen.

Inschatting van belasting en risico

Patiënten en controles hebben geen baat bij deze studie. Echter, voor de groep van ernstig aangedane patiënten met een mitochondriële ziekte, zou dit een veelbelovende uitkomstmaat kunnen zijn die het activiteiten- en welzijnsniveau

van de patiënt gedurende langere tijd, buiten het ziekenhuis objectief kan meten. Dit is van belang voor bepalen welke hulpmiddelen nuttig zouden kunnen zijn en in de toekomst voor trials. Patiënten moeten voor dit onderzoek 1 maal gedurende +/- 120 minuten naar het ziekenhuis komen en worden voor maximaal 60 minuten aan tests onderworpen met voldoende rustpauzes. Er zijn ons inziens geen risico's verbonden aan deze studie. De ervaringen van de patiënten die de meters hebben gedragen tot nu toe laten zien dat de kinderen er geen last van hebben. De (administratieve) belasting ligt met name bij ouders.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Geert grooteplein noord 10
Nijmegen 6500 HB
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Geert grooteplein noord 10
Nijmegen 6500 HB
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)

Patienten

- Patiënten van 4-18 jaar
- Verlaagde ATP productie (onder de laagste referentiewaarde) in verse spier in dezelfde verhouding als de pyruvaatoxidatie aangedaan is of mutatie in gen dat mitochondriële ziekte veroorzaakt
- die regelmatig opgevolgd worden in het Nijmegen Centre for Mitochondrial Disorders

Gezonde controles

- Gezond
- Regulier onderwijs
- 4-18 jaar oud

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Een potentiële patiënt die voldoet aan een van de volgende criteria wordt uitgesloten van deelname aan deze studie:

- Er wordt verwacht dat de reis naar het ziekenhuis te belastend is voor de patiënt.
- Koorts ($> 38^{\circ}\text{C}$)
- Epilepsia continua

- Veranderde bewustzijnstoestand tov normaal (suf, niet goed bereikbaar, volgens ouders); Een potentiële gezonde controle die voldoet aan een van de volgende criteria wordt uitgesloten van deelname aan deze studie:

- Staat onder controle bij een kinderarts
- Klachten van inspanningsintolerantie, vermoeidheid of spierklachten, meer dan leeftijdsgenoten
- Officiële diagnose van ADHD
- Broer of zus met de diagnose van een metabole of neuromusculaire ziekte

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	01-02-2015
Aantal proefpersonen:	50
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	10-02-2015
Soort:	Eerste indiening
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	NL50560.091.14