

Gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde oxytocine studie bij kinderen met Prader-Willi syndroom. Effecten op sociaal gedrag.

Gepubliceerd: 04-10-2017 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Het doel van deze studie is het onderzoeken van de effecten van intranasale toediening in vergelijking met placebo op sociaal gedrag en eetgedrag in kinderen met PWS.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON44462

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

RCT intranasale toediening oxytocine bij kinderen met PWS

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen

Synoniemen aandoening

Prader-Willi syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Stichting Kind en Groei

Overige ondersteuning: Stichting Kind en Groei

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Gedrag, Oxytocine, Prader-Willi syndroom, RCT

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Veranderingen in sociaal gedrag gemeten middels:

- Social Responsiveness Scale

Secundaire uitkomstmaten

Veranderingen in:

- Clinical Global Impression scale
- Quality of life (DUX25 en DUXPWS)
- Sociaal gedrag (Repetitive Behavior Scale-Revised, VISK, Oxytocin study questionnaire revised)
- Hyperfagie (Hyperphagia questionnaire Dykens)
- Lichaamssamenstelling (Anthropometrie, BMI en DXA-scan).
- Sociaal- en eetgedrag (dagboek)
- Voedselinname (dagboek)
- Laboratoriumparameters (oxytocine in speeksel en bloed)
- Veiligheidsparameters (laboratoriumparameters en lichamelijk onderzoek)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Patiënten met Prader-Willi syndroom (PWS) hebben gedragsproblemen met kenmerken van autisme. Daarnaast is er sprake van een verhoogde eetlust met het risico om morbide obees te worden. De gedragsproblemen zijn een grote belasting voor het gezin.

Verschillende studies hebben aangetoond dat er sprake is van hypothalame en oxytocinerge dysfunctie bij patiënten met PWS.

Het aantal oxytocine-neuronen in de PVN van PWS-patiënten is met 42% verminderd. Recente preliminaire studies in de mens vonden positieve effecten van oxytocine op sociaal gedrag (verbetering) en lichaamsgewicht (daling). Onze eerdere RCT liet bij kinderen van 6-11 jaar een positief effect zien van intranasale toediening van oxytocine op sociaal gedrag en eetgedrag. Dit positieve effect werd niet gezien bij kinderen van 11-14 jaar. Mogelijk is het van belang om op jonge leeftijd te starten met oxytocine neusspray om de beste effecten te bereiken.

Het oxytocine systeem is een veelbelovende target voor therapeutische interventies, met name in sociaal dysfunctioneren.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is het onderzoeken van de effecten van intranasale toediening in vergelijking met placebo op sociaal gedrag en eetgedrag in kinderen met PWS.

Onderzoeksopzet

Gerandomiseerde, dubbel-blinde, placebo-gecontroleerde studie: tweemaal daags oxytocine of tweemaal daags placebo, elk gedurende 3 maanden met een washout periode van 1 maand tussen de cross-over.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Placebo tweemaal daags en oxytocine tweemaal daags in cross-over design

Inschatting van belasting en risico

Belasting: tweemaal daags toedienen van neusspray (bestaande uit oxytocine of placebo) gedurende in het totaal 6 maanden. Maximaal 6 ziekenhuisbezoeken in 7 maanden, waarvan 4 bezoeken met bloedafname, dexamethaan-scan en psychologische test. Bijhouden van een kort dagboekje over gedrag en voedselinname gedurende 5 dagen voorafgaand aan ieder bezoek.

Patiënten en ouders zijn zeer gemotiveerd om deel te nemen aan deze studie, aangezien zij graag een oplossing zouden zien voor de gedragsproblemen.

Risico's: wij verwachten geen bijwerkingen of adverse events gedurende de oxytocine studie. Oxytocine wordt al decennia lang intraveneus tijdens de partus toegediend en geeft zelden bijwerkingen. Daarbij hebben wij tijdens onze vorige studie geen adverse events gezien.

Contactpersonen

Publiek

Stichting Kind en Groei

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016AH
NL

Wetenschappelijk

Stichting Kind en Groei

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016AH
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Prader-Willi syndroom vastgesteld met genetisch onderzoek
- Leeftijd 3 tot 10.99 jaar
- Informed Consent
- Op dit moment gedurende tenminste 1 jaar groeihormoonbehandeling
- Gedragskenmerken als verminderde sociale wederkerigheid en interactie, repetitief gedrag of woede uitbarstingen, en/of voedingsfase 2b of 3 volgens Miller

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Ernstige psychiatrische problemen
- Non-coöperatief gedrag
- Allergische reactie of hypersensitiviteit voor oxytocine
- Ernstige ziekten
- Hartafwijkingen
- Extreem lage intake
- Medicatie voor gewichtsverlaging

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blindering:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	05-05-2018
Aantal proefpersonen:	30
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Syntocinon
Generieke naam:	Oxytocine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-10-2017

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-12-2017

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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	EUCTR2017-003423-30-NL
CCMO	NL63031.078.17