

Selecteren van uitkomstmaten voor kinderen met mitochondriële encephalopathie: pilot studie

Gepubliceerd: 06-06-2018 Laatste bijgewerkt: 11-04-2024

Bepalen van de relevantie, haalbaarheid, betrouwbaarheid en validiteit van verschillende meetinstrumenten in kinderen met mitochondriële encephalopathie

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

Samenvatting

ID

NL-OMON45750

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

SO-MITO encephalopathie

Aandoening

- Aangeboren metabolismestoornissen

Synoniemen aandoening

energiestofwisselingsziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Stofwisselkracht

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: encephalopathie, mitochondriële ziekten, uitkomstmaten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Functional test (easy to difficult):

Accelerometry

Spasticity- Tardieu

Barry Albright Dystonia Scale

Gross Motor Function measure (GMFM)

9 hole peg test

10m walk or run test

Scale for the Assessment and Rating of Ataxia (SARA)

Gait measurement

6-minute walking test

30 seconds sit to stand test

Questionnaires:

Pediatric Evaluation of Disabilities Inventory * Computer Adaptive Test

(PEDI-CAT)

Pediatric Outcomes Data Collection Instrument (PODCI)

Caregiver burden scales

Newcastle Pediatric Mitochondrial Disease Scale (NPMDS; including short physical examination)

International Pediatric Mitochondrial Disease Scale (IPMDS; including short

physical examination)

Only in young children (<2 years):

Children's Hospital Of Philadelphia Infant Test Of Neuromuscular Disorders

(CHOP-INTEND; for young children)

Alberta Infant Motor Skills (AIMS; for young children)

Secundaire uitkomstmaten

Demographic data (age, gender, age at diagnosis, genetic diagnosis, phenotype, height, weight)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Klinische trials zijn zo betrouwbaar als hun eindpunten. Het meten van de klinische ernst van patiënten met hersenaandoeningen is erg lastig. In deze studie proberen we een beeld te krijgen welke testen het best de ziekte-ernst van patiënten met mitochondriële encephalopathie kunnen meten.

Doel van het onderzoek

Bepalen van de relevantie, haalbaarheid, betrouwbaarheid en valideit van verschillende meetinstrumenten in kinderen met mitochondriële encephalopathie

Onderzoeksopzet

observationale studie met 3 meetmomenten: training, baseline en retest

Inschatting van belasting en risico

Patienten zullen waarschijnlijk spierpijn krijgen en moe worden, zoals van een gymles. Er is een risico op vallen, dit proberen wij in overleg met ouder te minimaliseren.

Patienten vinden de testen over het algemeen leuk om te doen.

We hebben de testen over de dag verdeeld zodat de kinderen niet te moe worden en de testen niet te veel beïnvloed worden door vermoeidheid.

Dit onderzoek levert ons echter essentiële informatie op over welke testen wij in een toekomstige trial in deze populatie gaan moeten gebruiken.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Geert grooteplein noord 10
Nijmegen 6500 HB
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

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)

genetisch bewezen mitochondriële ziekte
encefalopathie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

studie is te belastend
visus problemen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 01-04-2019

Aantal proefpersonen: 20

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 06-06-2018

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	NL65562.091.18