

Sterk in omgaan met moeheid voor kinderen en jongeren met mitochondriële myopathie

Gepubliceerd: 28-08-2018 Laatst bijgewerkt: 10-04-2024

Doel van de POWERME studie is om vermoeidheid en kwaliteit van leven van kinderen met mitochondriële myopathie in kaart te brengen. Vervolgens wordt een op maat gemaakte blended cognitieve gedragstherapie voor vermoeidheid ontworpen en getest, dat...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Aangeboren metabolismestoornissen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON46370

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PowerMe studie

Aandoening

- Aangeboren metabolismestoornissen
- Psychiatrische en gedragssymptomen NEG
- Levensstijlaangelegenheden

Synoniemen aandoening

energiestofwisselingsziekte, Mitochondriële aandoeningen, oxidatieve fosforyleringsziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Prinses Beatrix Spierfonds

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cognitieve gedragstherapie, E-health, Mitochondriële aandoening, Vermoeidheid

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaat is subjectieve/ervaren vermoeidheid.

Secundaire uitkomstmaten

De secundaire uitkomstmaten zijn kwaliteit van leven, fysiek functioneren en schoolaanwezigheid van het kind met de mitochondriële ziekte.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Mitochondriële myopathie kenmerkt zich door grote heterogeniteit en onvoorspelbaarheid van het beloop. De aandoening wordt veelal erfelijk overgedragen en expressie kan variëren van zeer milde tot levensbedreigende pathologie. Dat betekent dat kinderen met een mitochondriële myopathie en hun ouders, te maken hebben met veel onzekerheid rond aard en beloop van hun aandoening. Tot op heden is er geen medische behandeling mogelijk. Zorg heeft met name de focus om het brede scala aan symptomen te verlichten. Vermoeidheid wordt ervaren als één van de meest vervelende klacht met een grote impact op de kwaliteit van leven. Vermoeidheid is vaak ook een belangrijke reden voor schoolverzuim, wat tevens veel invloed heeft op hun sociale en maatschappelijke participatie. Er zijn nog geen ziekte-gerelateerde interventies om de patiënten te ondersteunen. Door de heterogeniteit in genotype en fenotype is er nog nauwelijks systematisch onderzoek gedaan naar impact van de aandoening op kwaliteit van leven. De laatste jaren is veel vooruitgang geboekt op het gebied van de genetische en biochemische basis van mitochondriële aandoeningen. Dat biedt hoop voor genezing of gunstige beïnvloeding van het beloop van de ziekte. Het heeft echter ook duidelijk gemaakt dat daadwerkelijke genezing niet van vandaag op morgen gerealiseerd zal zijn. Kinderen en hun ouders zullen dus voorlopig geconfronteerd blijven met klachten samenhangend met hun ziekte waar nog geen afdoende behandeling voor bestaat.

Doel van het onderzoek

Doel van de POWERME studie is om vermoeidheid en kwaliteit van leven van

kinderen met mitochondriële myopathie in kaart te brengen. Vervolgens wordt een op maat gemaakte blended cognitieve gedragstherapie voor vermoeidheid ontworpen en getest, dat bestaat uit verschillende modules. De zelf-management interventie zal gepersonaliseerd zijn, het sluit aan bij de persoonlijke doelen en bij het vermoeidheid- en kwaliteit van leven profiel dat voortkomt uit de vragenlijsten. Daarnaast zullen de ouders een parallel programma doorlopen, om hun kinderen tijdens (en na) de interventie goed te ondersteunen.

Onderzoeksopzet

Tien patiënten zullen meedoen aan tien single-case experimenten. Ze zullen in de interventie periode random een wachttijdperiode toegeschreven krijgen, zo worden ze een eigen controleparticipant. Een single-case experiment (SCE) is een rigoureuze, wetenschappelijke methode om de grondbeginselen van gedrag te definiëren. Een SCE geeft een experimentele controle binnen 1 casus. Deze aanpak is evidence-based, net zoals designs met gerandomiseerde controlegroepen. SCE*s zijn experimenteel, niet correlationeel of beschrijvend, met als doel om causale verbanden tussen onafhankelijke en afhankelijke variabelen vast te stellen binnen één casus. De variabelen worden zowel binnen een individu en tussen verschillende individuen vergeleken. Op deze manier wordt gecontroleerd voor interne validiteit en de replicatie vergroot de externe validiteit. Een single-case design is met name handig bij onderzoek naar kinderen met zeldzame aandoeningen, omdat het includeren van een grote groep niet haalbaar is binnen een studie. Daarbij zijn de resultaten direct van toepassing voor gezondheidszorg professionals en kan de interventie optimaal geïndividualiseerd worden op de persoonlijke omstandigheden van de patiënt.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Participanten krijgen blended cognitieve gedragstherapie (CGT) gericht op de vermoeidheidsklachten naast de reguliere zorg. Deze blended CGT interventie beslaat 4 maanden waarin de patiënt minimaal 8 contactmomenten met de therapeut heeft. Er zijn 3 face-to-face sessies en 5 e-consulten via face-time van 1 uur. Daarnaast volgen ze online behandelmodules via een interactieve website. Kinderen tussen de 8 en 12 jaar zullen het programma samen met de ouders volgen, kinderen van 12 jaar en ouder zullen de interventie individueel volgen. Alle ouders hebben toegang tot een parallel programma. De CGT wordt gegeven door getrainde en ervaren psychologen van de afdeling Medische Psychologie - Kind en Jeugd van het Radboud universitair medisch centrum (RadboudUMC). Zij zijn gespecialiseerd in het werken met kinderen, adolescenten en de ouders. Het POWERME programma is een gepersonaliseerde CGT gericht op vermoeidheid en bevat verschillende behandelmodules. Alle participanten zullen starten met het vaststellen van de persoonlijke doelen. Vervolgens zullen ze werken aan hun persoonlijke instandhoudende factoren van de vermoeidheid, bijvoorbeeld omgaan met aspecten van de ziekte, omgaan met emotionele problemen, en het leren van adaptieve sociale vaardigheden. Deze factoren worden behandeld in verschillende modules. Tijdens de intake wordt vastgesteld welke modules relevant zijn voor de participant waarna een op maat gemaakte interventie kan worden

ingezet dat zich richt op de persoonlijke behoeften van de patiënt. De participanten zijn klaar met de behandeling als ze de persoonlijke doelen hebben gehaald. Alle ouders volgen een parallel programma waarbij ze toegang krijgen tot een apart ouder-gedeelte van de website. Hier staat de inhoud van de kind-modules, psycho-educatie en een applicatie voor e-consulten. De ouders hebben e-mail contact met de therapeut waarbij resultaten worden besproken en opdrachten kunnen worden gegeven. De kinderen en ouders hebben ieder een eigen account, om vertrouwelijkheid te garanderen. De ouders van de patiënten tussen 8 en 12 jaar werken samen met hun kind aan de interventie, terwijl ouders van de oudere kinderen wordt gevraagd hun kind te motiveren en eigen verantwoordelijk te bevorderen voor hun eigen behandeling. Op de ouder-website staan tips hoe ze hun kind het beste kunnen helpen tijdens de behandeling, en kunnen ze informatie opzoeken in een bibliotheek met relevante informatie en websites voor ouders met een kind met een mitochondriële ziekte.

Inschatting van belasting en risico

Er zijn geen of minimale risico's verbonden aan deelname aan een CGT interventie. De belasting is beperkt. De studie bestaat uit een blended CGT van 4 maanden, waarbij de patiënt voor 3 sessies extra moet reizen. Daarnaast volgt de patiënt een online interventie met huiswerkopdrachten. Gedurende de gehele studie vullen de patiënt en ouders een korte wekelijkse vragenlijst in. Hier zijn ze ongeveer 5 minuten mee bezig. Een aantal andere vragenlijsten wordt ingevuld op de baseline en post-interventie metingen. Het invullen van de vragenlijsten is zonder risico en de belasting is beperkt. Er zijn substantiële mogelijke voordelen voor de patiënt. CGT is bewezen effectief in het verminderen van vermoeidheid en beperkingen bij patiënten met verscheidene aandoeningen. De verwachting is dat ook patiënten met een mitochondriële ziekte beter om leren gaan met de vermoeidheid. Dit onderzoek kan niet gedaan worden zonder medewerking van deze patiëntengroep.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525 GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525 GA
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)

- Leeftijd van 8 tot 18 jaar
- Kan Nederlands spreken, schrijven en lezen
- Is gediagnosticeerd met een genetisch aangetoonde mitochondriële ziekte
- Ernstige vermoeidheid (CIS vermoeidheid ≥ 35)
- Toegang tot computer met internet
- Basisvaardigheden computer
- In staat naar het Radboudumc te reizen voor de CGT interventie (3 bezoeken)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Intellectuele beperkingen (ontwikkelingsleeftijd jonger dan 8 jaar)
- Primair een depressieve stoornis (CDI ≥ 16) of angst stoornis (SCARED-C ≥ 25)
- Geen huidige psychologische behandeling voor vermoeidheid

Onderzoekopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 21-04-2019

Aantal proefpersonen: 10

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 28-08-2018

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 30-12-2019

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

CCMO

ID

NL63537.091.18