

Op weg naar klinische trials voor facioscapulohumerale spierdystrofie

Gepubliceerd: 12-04-2018 Laatste bijgewerkt: 10-04-2024

Het primaire doel van dit onderzoek om de ontwikkeling van therapieën voor te bespoedigen door de bruikbaarheid van diverse klinische uitkomstmaten te evalueren, nieuwe uitkomstmaten te valideren, en patiënten karakteristieken te bepalen voor...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON46457

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ReSolve FSHD

Aandoening

- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

FSHD, ziekte van Landouzy-Dejerine

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Neurologie

Overige ondersteuning: Friends of FSH Research

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: facioscapulohumerale spierdystrofie, gereedheid voor klinische trials, uitkomstmaten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Betrouwbaarheid, validiteit en gevoeligheid van een nieuw ontwikkelde klinische uitkomstmaat: FSHD-COM

Secundaire uitkomstmaten

Correlatie met en vergelijking van de FSHD-COM met traditionele klinische uitkomstmaten voor FSHD zoals een spierkrachtmeting met de MRC-schaal, kwantitatieve krachtmetingen, patiënt-gerapporteerde uitkomstmaten (PROMIS57, upper extremity functional index UEFA, FSHD-health index FSHD-HI) en scores voor ziekte-ernst.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Facioscapulohumerale spierdystrofie is een erfelijke spierziekte waarvoor op dit moment geen behandeling bestaat. Diverse farmaceutische bedrijven werken aan de ontwikkeling van medicamenteuze behandelstrategieën, welke naar alle waarschijnlijkheid in de komende 5 jaar getest zullen gaan worden in klinische trials. Het is daarom essentieel dat uitkomstmaten voor klinische trials gevalideerd worden en worden getest op de gevoeligheid om veranderingen te meten. Daarnaast moet worden getest in hoeverre ze bruikbaar zijn in multicenter onderzoek. Ten slotte is het van belang om te bepalen welke subgroepen van patiënten voor welke klinische trial het meest geschikt zijn om een eventueel effect aan te tonen.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van dit onderzoek om de ontwikkeling van therapieën voor te bespoedigen door de bruikbaarheid van diverse klinische uitkomstmaten te

evalueren, nieuwe uitkomstmaten te valideren, en patiënten karakteristieken te bepalen voor patiëntenselectie in klinische trials.

Onderzoeksopzet

Dit onderzoek is een internationaal multicenter onderzoek. Het betreft een longitudinale observationele cohort studie met een follow-up duur van 18 maanden.

Inschatting van belasting en risico

Deelnemers komen viermaal naar het Radboudumc voor een bezoek van enkele uren waarbij zij vragenlijsten beantwoorden, tests gericht op spierzwakte ondergaan, een DEXA scan ondergaan en waarbij bloedmonsters worden afgenomen. De risico's zijn verwaarloosbaar klein: een patiënt kan zich bezeeren tijdens de tests, de tests kunnen confronterend zijn ten aanzien van de mate van spierzwakte, bij het bloedprikken kan een blauwe plek ontstaan, en the DEXA scan gebruikt een minimale hoeveelheid röntgenstraling.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Reinier Postlaan 4 (935)
Nijmegen 6525GC
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Reinier Postlaan 4 (935)
Nijmegen 6525GC
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- Klinisch beeld van FSHD met genetische bevestiging
- Leeftijd 18-75 jaar
- Symptomatische arm/beenspierzwakte
- In staat om 10m te lopen zonder hulp van een ander persoon

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Cardiale of respiratoire dysfunctie
- Orthopedische aandoeningen waardoor het niet mogelijk is om spierzwakte veilig te testen
- Regelmatig gebruik van spierversterkende of verzwakkende medicatie, zoals corticosteroiden, testosteron, of beta-agonisten
- Gebruik van een experimenteel medicijn tegen FSHD in de 90 dagen voorafgaand aan deelname
- Zwangerschap

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	03-07-2018
Aantal proefpersonen:	25
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-04-2018
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	28-07-2020
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	ID
CCMO	NL64221.091.18