

Kwantitatieve MRI van de skeletspieren in Duchenne en Becker spierdystrofie

Gepubliceerd: 04-02-2013 Laatste bijgewerkt: 26-04-2024

Het vergelijken van kwantitatieve spier MRI metingen tussen DMD patiënten, BMD patiënten en gezonde controles. De vergelijkingen worden cross-sectioneel en longitudinaal uitgevoerd. Daarnaast zal in de Becker patiënten gekeken worden naar de...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON47455

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Kwantitatieve MRI in DMD en BMD

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne spier Dystrofie; ziekte van Duchenne

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radiologie

Overige ondersteuning: ZonMW

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: MRI, Natuurlijk beloop, skelet spieren, Spierdystrofie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het belangrijkste aspect van dit project is dat dezelfde MRI meettechnieken toegepast worden bij zowel de DMD als de BMD patiënten om MRI uitkomstmaten te ontwikkelen. Deze uitkomstmaten moeten gebruikt gaan worden om de werkzaamheid van de therapieën te kunnen beoordelen in klinische trials.

Opgesplitst hebben we de volgende doeleindes:

1. Beoordelen van reproduceerbaarheid van kwantitatieve MRI metingen van spiervolume, vet infiltratie, oedeem, vezelarchitectuur en energie metabolisme in zieke spieren.
2. Het cross-sectioneel vergelijken van de kwantitatieve MRI resultaten tussen de DMD en BMD patiënten en de gezonde controles.
3. Het relateren van MRI parameters van de drie patiënt groepen aan spierkracht en functie.
4. Het onderzoeken van de bruikbaarheid van kwantitatieve MRI bij het in beeld brengen van het ziekteverloop, door het herhalen van de metingen na 12 maanden.

Secundaire uitkomstmaten

nvt

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Progressieve spierzwakte is een van de kenmerken van Duchenne (DMD) en Becker (BMD) spier dystrofie. Potentiele therapieën streven naar het omzetten van een DMD fenotype in een BMD fenotype. De uitkomstmaten die gebruikt worden in de huidige klinische trials zijn spierkracht, functionele testen en spierbiopten.

Het gebruik van deze uitkomstmaten heeft enkele nadelen. Zo zijn spierbiopsen ingrijpend en onaantrekkelijk om herhaaldelijk toe te passen, vooral bij kinderen. Daarnaast wordt men voorzien van beperkte informatie doordat slechts een klein gedeelte van alleen één spier wordt meegenomen. Dit terwijl in DMD en BMD patiënten verscheidene spieren in verschillende mate zijn aangedaan. De functionele testen, zoals de 6 minuten loop test, hebben een relatieve grote variabiliteit en geven geen informatie over spierkwaliteit. Ten slotte zijn er weinig patiënten beschikbaar om met behulp van klinische trials onderzoek te doen naar DMD patiënten met zeldzame mutaties. Daarom is het hebben van non-invasieve, objectieve en sensitieve methoden noodzakelijk om de werkzaamheid van de therapieën te kunnen beoordelen.

MRI is een veilige, non-invasieve methode, waarmee een goed contrast aanwezig is bij het afbeelden van weke delen en gemakkelijk herhaaldelijk kan worden toegepast. Met deze techniek kunnen de belangrijke aspecten die spier kwaliteit beïnvloeden in DMD en BMD, namelijk hypertrofie en atrofie, vervetting, oedeem, vezel architectuur en energiemetabolisme kwantitatief beoordeeld worden. Eerdere MRI studies hebben DMD patiënten cross-sectioneel geëvalueerd en deze vergeleken met een gezonde controlegroep. Echter wanneer ontwikkelde therapieën als doel hebben om het ernstige DMD fenotype om te zetten in het minder ernstige BMD fenotype, is het van belang om MRI data van de DMD patiënten met zowel de BMD patiënten als met de gezonde controles te vergelijken.

Doel van het onderzoek

Het vergelijken van kwantitatieve spier MRI metingen tussen DMD patiënten, BMD patiënten en gezonde controles. De vergelijkingen worden cross-sectioneel en longitudinaal uitgevoerd. Daarnaast zal in de Becker patienten gekeken worden naar de dystrofine expressie in twee verschillende beenspieren.

Onderzoeksopzet

Observationele en casus controle studie

Inschatting van belasting en risico

Er zijn geen bekende risico*s verbonden aan het meedoen met de MRI metingen. Patiënten met intracraniële en intra-oculaire metaaldeeltjes, een pacemaker of claustrofobie zullen uitgesloten worden bij het onderzoek vanwege de mogelijke contra-indicatie voor MRI in deze patiënten. De Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK), * Gedragscode verzet bij minderjarigen die deelnemen aan medisch-wetenschappelijk onderzoek* zal toegepast worden in deze studie.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Albinusdreef 2
Leiden 2333ZA
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Albinusdreef 2
Leiden 2333ZA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

DMD en BMD patienten van 5 jaar en ouder met typische spierzwakheid en een bekende genetische mutatie in het dystrofine gen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Algemene exclusie criteria:

- claustrofobie
- pacemakers en defibrillatoren
- zenuwstimulatoren
- intracraniale clips
- intraorbitale of intraoculaire metaaldeeltjes
- cochleaire implantaten
- ferromagnetische implantaten (bijvoorbeeld thoracaal implantaat voor scoliose)
- beperking om minimaal 60 minuten stil op de rug te liggen

Exclusie criteria voor gezonde controles:

- het hebben van een spierziekte
- recent spier trauma

Onderzoekopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	30-07-2013
Aantal proefpersonen:	74
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 04-02-2013
Soort: Eerste indiening
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 02-12-2013
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 14-10-2015
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 10-06-2016
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 23-05-2018
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 10-10-2019
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

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	NL42012.058.12

Resultaten

Einddatum onderzoek:	08-07-2020
Datum resultaten gemeld:	21-02-2018
Totaal aantal deelnemers:	74

Samenvatting resultaten

Trial is ongoing in other countries

Datum eerste publicatie onderzoek

21-02-2018