

Jong volwassenen Prader-Willi (YAP) Syndroom studie: Effecten van groeihormoon nadat de eindlengte bereikt is: Een klinische studie naar de optimale dosering van groeihormoon in jongvolwassenen met PWS.

Gepubliceerd: 12-01-2012 Laatst bijgewerkt: 07-02-2025

Het vinden van een optimale dosering groeihormoon voor volwassenen met PWS. Met als doel stabilisatie van de verkregen lichaamssamenstelling en het psychosociaal functioneren. Daarnaast willen wij de lange termijn effecten en veiligheid van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Endocriene aandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON50380

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

YAP studie

Aandoening

- Endocriene aandoeningen, congenitaal
- Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen
- Eetlust- en algemene voedingsstoornissen

Synoniemen aandoening

Prader-Willi syndroom

Betreft onderzoek met
Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Stichting Kind en Groei.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Groei hormoon, Jong volwassenen, Prader-Willi syndroom

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het vinden van de optimale dosering groeihormoon voor volwassen met PWS.

De lange termijn effecten van GH-behandeling op:

- Lichaamssamenstelling
- Koolhydraatstofwisseling
- Lipiden profiel
- De bloeddruk
- Psychosociaal functioneren
- Psychisch functioneren

Secundaire uitkomstmaten

De lange termijn effecten van GH-behandeling op:

- Schildklierhormoon niveaus, IGF-I en IGF-bindende eiwitten, ghrelin.
- Naleving van het dieet.
- Onderzoeken of GH behandeling invloed heeft op de start, eerste symptomen en ontwikkeling van psychiatrische stoornissen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Groeihormoon (GH) verbetert de groeisnelheid en lichaamssamenstelling bij kinderen met het Prader Willi syndroom. Bovendien resulteert groeihormoonbehandeling in een verbetering van het psychosociaal functioneren. Als de epifytaire fusie is voltooid en de eindlengte is bereikt, moet GH-behandeling echter worden gestopt. Het staken van GH resulteert bij de jongeren in een afname van spiermassa, een stijging van het percentage lichaamsvet en een verslechtering van het psychosociale gedrag. We verwachten dat de nog lopende dubbel blinde, placebo gecontroleerde studie (Transitiestudie) aan gaat tonen dat ook jongvolwassenen met PWS kunnen profiteren van GH-behandeling door een positief effect op de lichaamssamenstelling en het psychosociale welzijn.

Psychiatrische stoornissen zijn beschreven bij volwassenen met het Prader-Willi syndroom. Er zijn geen longitudinale studies bekend die de prevalentie, de natuurlijke ontwikkeling en preventie van psychiatrische stoornissen in adolescenten met PWS in kaart hebben gebracht. Omdat psychiatrische symptomen en -stoornissen vaak voorkomen bij personen met PWS is het van essentieel belang om de prevalentie en ontwikkeling hiervan longitudinaal te bestuderen tot in de volwassenenheid. Belangrijk hierbij is ook dat de informatie die met deze aanvulling op het huidige protocol wordt verzameld uitstekend aansluit op wat er reeds op het gebied van gedrag en cognitie bij de kinderen onderzocht is en nog onderzocht gaat worden in het unieke cohort van 140 Nederlandse kinderen met PWS (MEC 205.253/2001/230, amendement goedgekeurd op 30 juni 2010 en MEC 2007-189 amendement 1, goedgekeurd 9 september 2010).

Doel van het onderzoek

Het vinden van een optimale dosering groeihormoon voor volwassenen met PWS. Met als doel stabilisatie van de verkregen lichaamssamenstelling en het psychosociaal functioneren.

Daarnaast willen wij de lange termijn effecten en veiligheid van groeihormoonbehandeling onderzoeken op:

- lichaamssamenstelling
- koolhydraatmetabolisme
- serum lipiden

- bloeddruk

Onderzoeksopzet

Voor (her)starten van groeihormoon komen patienten naar het Sophia Kinderziekenhuis en worden de volgende onderzoeken verricht:

- Orale glucose tolerantie test
- Laboratoriumonderzoek
- Dexa-scan
- Gewicht en taille-heupratio
- Bloeddruk

Aanvullende tests bij de jaarlijkse controle:

- DEXA voor lichaamssamenstelling en de botdichtheid (tevens na het eerste half jaar)
- Voedingsinname gedurende 7 dagen (via dagelijkse inname boek) en een vragenlijst over eet(gedrag)
- Laboratoriumbepalingen (tevens na het eerste half jaar)
- Orale glucose tolerantie test (eenmaal in de 5 jaar)

Onderzoeksproduct en/of interventie

Behandeling met Norditropin 0,33 mg/m²/dag. Met behulp van het IGF-I en DEXA scans zal de groeihormoon dosis getitreerd worden.

Inschatting van belasting en risico

Bezwaar:

- Invullen van vragenlijst
- Eenmaal in de 5 jaar een orale glucose tolerantie test

Voordelen:

- De positieve effecten van GH op lichaamssamenstelling en psychosociaal gedrag.
- De positieve effecten van GH op het psychisch functioneren.

Groep verwantschap:

- Toepasbaar voor andere jongeren met het Prader-Willi-syndroom.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016 AH
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016 AH
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

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

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

- 1) Genetisch bewezen Prader-Willi syndroom
- 2) Volwassen lengte bereikt
- 3) Als kind of in de laatste jaren behandeld met groeihormoon

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- niet cooperatief gedrag
- het gebruik van medicatie om vet te reduceren
- ernstige slaapgerelateerde ademhalingsstoornissen (beoordeeld door arts)
- nooit eerder behandeld met groeihormoon

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	3
Type:	Interventie onderzoek
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geen controle groep
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	24-10-2012
Aantal proefpersonen:	75
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Norditropin
Generieke naam:	Somatropine
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-01-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-10-2012
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-08-2013
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-12-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-01-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-01-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-08-2018
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-02-2021
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-03-2021
Soort:	Amendement
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	EUCTR2011-001313-14-NL
CCMO	NL36206.078.11