

Metabolisme en overleving in patienten met amyotrophische laterale sclerose

Gepubliceerd: 13-04-2016 Laatste bijgewerkt: 20-04-2024

Het doel van dit onderzoek is om een verandering in het metabolisme van ALS patiënten aan te tonen en te relateren aan de snelheid van ziekte progressie.

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

Samenvatting

ID

NL-OMON50744

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MEASURE

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

amyotrophische laterale sclerose (ALS), ziekte van Lou Gehrig

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Afdeling Neurologie

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, ALS Stichting Nederland

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ALS, Energieverbruik, Metabolisme, Overleving

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Ziekte progressie (ALSFRS-R helling)

Secundaire uitkomstmaten

1. Overleving, gedefinieerd als overlijden of invasieve beademing.
2. Energiehuishouding
3. Lichaamssamenstelling
4. Voedselinname
5. Biomarkers voor voorspellen ziekteprogressie
6. Bestuderen van oorzaken van gewichtsverlies.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Amyotrofische laterale sclerose (ALS) is een ernstige aandoening waarvoor momenteel geen behandeling bestaat. ALS veroorzaakt progressieve spierzwakte en heeft een gemiddelde overlevingsduur van 3 tot 5 jaar. De prevalentie van ALS in Nederland is 1600 personen per jaar. Een beter begrip van het verloop van ALS en de onderliggende pathologie is van groot belang om nieuwe therapieën te ontwikkelen. Een fout in de energiehuishouding heeft mogelijk invloed op de progressie snelheid in ALS. In diermodellen van ALS zijn meerdere metabolische veranderingen geassocieerd met het ziekteverloop, waaronder een verlaagde vet massa, gestoorde glycogeen en vetopslag en veranderingen in de hormoonhuishouding. Uit eerdere studies is gebleken dat een verhoogd rustmetabolisme, een lage vet massa en een laag BMI zijn geassocieerd met een slechtere prognose in ALS patiënten. Klinische studies wijzen bovendien op een mogelijk positief effect van het supplementeren met hoogcalorische diëten. Een gedetailleerde evaluatie van de stofwisseling, lichaamssamenstelling en voedingsinname bij ALS patiënten en gezonde vrijwilligers kan daarom leiden tot nieuwe aangrijpingspunten voor toekomstige therapieën. Op deze manier hopen we met de resultaten van deze studie het ziekteverloop van ALS te beïnvloeden.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om een verandering in het metabolisme van ALS patiënten aan te tonen en te relateren aan de snelheid van ziekte progressie.

Onderzoeksopzet

Cross-sectionele case-control en longitudinale cohort studie met 4 groepen: ALS patiënten (n = 78) en neurologische controlepersonen (n = 78) en asymptomatische dragers (n = 39) en families (n = 39) waarin ALS voorkomt. De ALS patiënten zullen optioneel worden gevolgd voor 2 jaar met 3-maandelijke controle (window van vier weken) momenten om het metabolisme, lichaamssamenstelling en voedselinname te evalueren.

Familieleden kunnen drager danwel niet-dragers zijn van een ALS gen. De lichaamsactiviteit wordt gemeten middels de ActiGraph. De ActiGraph is een accelerometer (versnellingsmeter) waarmee de metabolic equivalent of task (MET) geschat kan worden in kcal/kg x hour. De ActiGraph is een klein (0.5 x 3.5 x 1 cm), licht (14 gram) apparaatje en zal op de rechterheup worden gedragen tijdens de uren dat de deelnemer wakker is, gedurende 7 opeenvolgende dagen. De ActiGraph is recent gevalideerd in 42 ALS patiënten (unpublished data). De ActiGraph zal bij iedere visit aan de participant meegegeven worden, waarna gevraagd zal worden de ActiGraph aan ons te retourneren. Wij zullen de benodigdheden hiervoor verstrekken.

Inschatting van belasting en risico

Energiehuishouding en lichaamssamenstelling worden beide gemeten op niet-invasieve wijze. Bloed wordt afgenomen via een vena puntie en heeft een minimaal risico op complicaties. Patiënten moeten 1 maal en optioneel tot 9 maal een ochtend in het ziekenhuis aanwezig zijn. Daarnaast moeten ze voorafgaand aan elk bezoek een vragenlijst invullen over hun voedselinname. De belasting voor deelname is daarom gemiddeld met een nihil risico op complicaties.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
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)

Diagnose ALS volgens El Escorial (definite, probable, probable laboratory supported en possible ALS) en ouder dan 18 jaar. Controle patiënten dienen een diagnose te hebben in het kader van perifere polyneuropathie met motorische symptomen of een andere vorm van MND (PSMA/PLS). Draggers moeten een bewezen gen mutatie hebben van een aan ALS geassocieerd gen, zonder ALS-gerelateerde symptomen. Voor andere familieleden geldt hetzelfde. Tevens geldt dit inclusiecriterium voor familieleden van andere ALS gerelateerde genen.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Jonger dan 18, patiënten die niet minstens circa 1 uur plat kunnen blijven liggen zonder ademhalings- of slikproblemen, patiënten met een tracheostoma of aan de beademing. Controle patiënten met enkel sensorische perifere polyneuropathie of perifere mononeuropathy.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	30-03-2017
Aantal proefpersonen:	234
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-04-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	15-02-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-09-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-01-2019
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-09-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	22-04-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec

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	NL54833.041.15