

Geavanceerde ademspierecho in patiënten met een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie

Gepubliceerd: 12-05-2021 Laatste bijgewerkt: 15-05-2024

Fase 1: betrouwbaarheid meten van geavanceerde ademspierecho in gezonde proefpersonen en in patiënten met een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie. Fase 2: vervolgonderzoek van de ademspierfunctie van twee jaar met geavanceerde...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON51064

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

geavanceerde ademspierecho

Aandoening

- Spieraandoeningen
- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

aangeboren spierafwijkingen, congenitale myopathiën/spierdystrofiën

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: ZonMw

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ademspierecho, ademspierzwakte, betrouwbaarheid, spierziekten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Fase 1: betrouwbaarheidsmetingen (inter-rater, intra-rater en test-retest) in gezonde proefpersonen en patiënten van uitkomstmaten van geavanceerde ademspierecho.

Fase 2: ontwikkeling van de uitkomsten van geavanceerde ademspierecho in een periode van twee jaar in patiënten.

Secundaire uitkomstmaten

Fase 1: validiteit van geavanceerde ademspierecho in gezonde proefpersonen

Fase 2: verschillen tussen patiënten en gezonde proefpersonen met geavanceerde ademspierecho

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Zwakte aan de ademspieren is een ernstig symptoom in veel spierziekten, zoals bij congenitale myopathiën en congenitale spierdystrofiën. Het meten van long(spier)functie is belangrijk om respiratoire problemen vroeg op te sporen en te monitoren, maar ook om respiratoire behandeling te sturen. Betrouwbare methoden om longspierfunctie specifiek en non-invasief te meten ontbreken echter. In de laatste tien jaar is echografie in toenemende mate in gebruik geraakt om non-invasief ademspierfunctie te beoordelen in patiënten met een spierziekte. Er zijn echter nog wel wat beperkingen, zoals slechte klinische betrouwbaarheid en een beperkte correlatie met ademspierfunctie. Nieuwe geavanceerde technieken zijn ontwikkeld om deze problemen te verhelpen, maar moeten eerst op betrouwbaarheid getest worden.

Doel van het onderzoek

Fase 1: betrouwbaarheid meten van geavanceerde ademspierecho in gezonde proefpersonen en in patiënten met een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie.

Fase 2: vervolgonderzoek van de ademspierfunctie van twee jaar met geavanceerde ademspierecho in patiënten met een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie.

Onderzoeksopzet

Een prospectieve cohortstudie, bestaande uit twee fases. Betrouwbaarheid van geavanceerde ademspierecho zal worden gemeten in gedurende fase 1 in gezonde proefpersonen en in patiënten. Verder zal validiteit worden bepaald in gezonde proefpersonen. Patiënten zullen twee jaar worden gevolgd en vergeleken worden met gezonde proefpersonen gedurende fase 2.

Inschatting van belasting en risico

Het risico van deelname aan deze studie is verwaarloosbaar. Deelnemers hebben geen baat bij deelname aan deze studie. De wetenschappelijke waarde van deze studie is de beschikbaarheid van betrouwbare en valide uitkomstmaten van geavanceerde ademspierecho. Daarbij zullen normaalwaarden van deze methoden en de afwijkende waarde in patiënten beschikbaar komen. samengenomen kan geavanceerde ademspierecho na deze studie gebruikt worden als uitkomstmaat in klinische (medicijn)trials. Daarnaast kan het gebruikt worden in de toekomstige klinische praktijk als diagnostisch middel en om patiënten respiratoir te begeleiden. Longfunctietesten kunnen ervaren worden als licht onaangenaam. Het plaatsen van een neus-maagsonde (alleen in een deel van de volwassen gezonde proefpersonen) kan worden ervaren als oncomfortabel.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Reinier Postlaan 4
Nijmegen 6525 EX
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Reinier Postlaan 4

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)

- Leeftijd:
 - o Fase 1: tussen de 18 en 60 jaar oud
 - o Fase 2: tussen de 8 en 60 jaar oud
- gezonde profpersonen: wilsbekwame proefpersoon
- Patiënten: genetisch bevestigde patiënt met een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie
- Bereidheid en vermogen om de aard en inhoud van de studie te begrijpen
- Mogelijkheid om deel te nemen en te voldoen aan studievereisten

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Voorgeschiedenis van, of een huidige aandoening met waarbij ademspierkacht of functie is aangedaan, anders dan een congenitale myopathie of congenitale spierdystrofie (bijvoorbeeld COPD)
- Roker
- Bekend met anatomische variaties in de mond, neus of keel, alleen voor gezonde proefpersonen in fase 1
- Bekend met stollingsproblematiek zoals een vaak voorkomende bloedneus, alleen

voor gezonden proefpersonen in fase 1.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	23-12-2021
Aantal proefpersonen:	122
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	12-05-2021
Soort:	Eerste indiening
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

ID: 23911

Bron: NTR

Titel:

In overige registers

Register	ID
CCMO	NL76526.091.21
Ander register	NL9207
OMON	NL-OMON23911