

MRI van de hersenen en cognitie bij volwassenen met Duchenne spierdystrofie

Gepubliceerd: 21-10-2021 Laatste bijgewerkt: 21-12-2024

We willen een beter begrip krijgen van de invloed van leeftijd op NPO en MRI veranderingen in volwassen DMD patiënten. Onze hypothese is dat cerebrale groeicurves een ander verloop hebben in DMD patiënten.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Beëindigd
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON52255

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

DMD hersenonderzoek bij volwassenen

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne Spierdystrofie / ziekte van Duchenne

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Grant entitled 'Brain Imaging and Cognition in adults living with Duchenne muscular dystrophy' from the Duchenne Parent Project The Netherlands

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Cognition, Duchenne, Hersenen, Neuromusculair

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Aanwezigheid of afwezigheid of significante verschillen in hersenvolumes, structurele connectiviteit, cerebrale perfusie en functionele connectiviteit tussen patienten en gezonde controles met betrekking tot leeftijd, na het toepassen van de geschikte statistiek per meting. Neurocognitieve parameters en gedragsmatig functioneren worden beoordeeld om de cohorten te beschrijven.

Secundaire uitkomstmaten

-

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne spierdystrofie (DMD) is een neuromusculaire ziekte die veroorzaakt wordt door mutaties in het dystrofine gen. Dystrofine is niet alleen aanwezig in de spieren, maar ook in de hersenen. Ongeveer 40% van de DMD patienten hebben leerproblemen, vooral problemen met automatisatie, werkgeheugen en lezen. We hebben in voorgaand onderzoek met magnetic resonance imaging (MRI) afwijkende volumes van het totale hersenen en de grijze stof, afwijkende microstructuur van de witte stof en afwijkende cerebrale doorbloeding in jongens met DMD vergeleken met leeftijd-gematchte gezonde controles. We hebben hierbij ook lagere scores op het neuropsychologische onderzoek (NPO) gevonden. Voorlopige data laten een afname in hersenvolume met de leeftijd zien, die sneller lijkt te zijn in DMD patienten vergeleken met controles, wat een neurodegeneratief proces suggereert. De cognitieve beperking in DMD wordt als niet-progressief gezien, echter is de relatie tussen leeftijd, intellectueel functioneren en MRI-zichtbare veranderingen nog steeds een onderwerp van discussie.

Doel van het onderzoek

We willen een beter begrip krijgen van de invloed van leeftijd op NPO en MRI veranderingen in volwassen DMD patienten. Onze hypothese is dat cerebrale groeicurves een ander verloop hebben in DMD patienten.

Onderzoeksopzet

Een observationele case-control studie waarin we dezelfde MRI en NPO metingen verrichten zoals gebruikt in onze vorige studie met jonge DMD patienten (gemiddelde leeftijd 13.4 jaar) (P09.121) toepassen op een oudere groep DMD patienten (>18 jaar).

Inschatting van belasting en risico

De deelnemers voor zowel het MRI als het NPO onderzoek wordt gevraagd om eenmaal een halve dag naar het LUMC te komen (ongeveer 4 uur). Ze ondergaan dan een MRI scan van de hersenen en neuropsychologisch onderzoek. Deze volwassen patienten met DMD zijn waarschijnlijk niet-ambulant en hebben een tillift nodig om naar het MRI bed overgebracht te worden. Ze kunnen ook contracturen hebben die hen belemmeren om hun benen uit te strekken in het MRI bed. We hebben uitgebreide ervaring en MRI accessoires (kussens, zachte banden etc.) om hun comfort en veiligheid te optimaliseren. De deelnemers met contraindicaties voor MRI nemen enkel deel aan het NPO gedeelte van het onderzoek en kunnen dit vanuit huis doen, zowel via een huisbezoek van de onderzoeker of een online consultatie wat ongeveer 2 uur duurt. De participanten hebben geen persoonlijk voordeel aan hun deelname, maar de data vergroot onze kennis van de betrokkenheid van de hersenen in DMD en kan de klinische zorg verbeteren.

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
Leiden 2333ZA
NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2
Leiden 2333ZA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Groep A: DMD patienten, MRI and NPO

Groep B: controles, MRI and NPO

Groep C: DMD patienten, NPO

Voor groep A/C:

In staat informed consent te tekenen

18 jaar of ouder

Genetisch gediagnosticeerd met DMD

Man

Voor groep B:

In staat informed consent te tekenen

Leeftijd maximaal een jaar schelend met een DMD participant (verwachting tussen de 18-30 jaar oud)

Man

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Een mogelijke deelnemer die een van de volgende criteria beantwoord wordt van deelname aan het onderzoek in groep A uitgesloten:

-MRI contraindicaties

-Niet in staat een NPE te voltooien

Een mogelijke deelnemer die een van de volgende criteria beantwoord wordt van deelname aan het onderzoek in groep B uitgesloten:

-gediagnosticeerd met enige neurologische of neuropsychologische aandoening

- MRI contraindicaties
- Niet in staat een NPE te voltooien

Een mogelijke deelnemer die een van de volgende criteria beantwoord wordt van deelname aan het onderzoek in groep C uitgesloten:

- Niet in staat een NPE te voltooien

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Beëindigd
(Verwachte) startdatum:	27-06-2022
Aantal proefpersonen:	40
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-10-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	25-03-2022

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	NL75238.058.21