

Ontwikkeling van een op afstand, patiëntgericht, klinisch studiemodel door het gebruik van digitale zorgtechnologie

Gepubliceerd: 23-08-2022 Laatste bijgewerkt: 19-04-2025

Primaire doel: Het beoordelen van de haalbaarheid en therapietrouw van het thuismeten van verschillende aspecten van de ziektebeloop door patiënten met ALS, om zodoende een set van betrouwbare digitale parameters voor datacollectie - verzameld onder...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON53924

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

TRICALS-ORIGIN

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

ALS, Amyotrofe Laterale Sclerose

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: Stichting ALS Nederland

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Amyotrofe Laterale Sclerose, Digitale biomarkers, Thuismeten, Zelfstandig meten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Therapietrouw, gedefinieerd als het aantal verrichte thuismetingen gedeeld door het totaal aantal thuismetingen.

Secundaire uitkomstmaten

Overall survival, gedefinieerd als tijd-tot-sterfte door iedere oorzaak of respiratoire insufficie*nte vanaf inclusie (respiratoire insufficie*nte gedefinieerd als tracheotomie of het gebruik van non-invasieve ventilatie voor >22 uur per dag voor ≥ 10 aaneengesloten dagen. Dagelijks functioneren, gedefinieerd als de gemiddelde verandering ten opzichte van baseline (*mean change from baseline) in de ALSFRS-R score en PRO-ALS score. Respiratoire functie, gedefinieerd als de gemiddelde verandering ten opzichte van baseline in VC (voorspellend percentage (*% predicted*) normale functie volgens de GL-2012 referentiestandaard) gemeten door de spirometrie, en de MND-DS. Fysieke activiteit, gedefinieerd als de gemiddelde verandering ten opzichte van baseline in verticale variatie gemeten door de accelerometrie. Bulbaire functie, gedefinieerd als de gemiddelde verandering ten opzichte van baseline in akoestische en visuele uitkomstmaten gemeten door akoestische en visuele spraakmetingen. Plaatsing van voedingssonde, gedefinieerd als tijd-tot-plaatsing vanaf inclusie. Gebruik van non-invasieve beademing, gedefinieerd als tijd-tot-initiatie vanaf inclusie. Lichaamsgewicht,

gedefinieerd als de gemiddelde verandering ten opzichte van baseline in kilogrammen. Ziektebeloop, gedefinieerd als gemiddelde tijd in elke fase van de King*s en ALS Milano-Torino systemen. Patie*ntbelasting en gebruikerservaring gemeten met een zelfgemaakte vragenlijst. Patie*nt gerapporteerde uitkomstmaten gemeten met een zelfgemaakte vragenlijst.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Amyotrofe laterale sclerose (ALS) is een degeneratieve ziekte, hetgeen trialdeelname extra belastend maakt. Implementatie van een thuismeet infrastructuur voor de beoordeling van uitkomstmaten en medicijnveiligheid zou ziekenhuisbezoeken onnodig maken, de belasting van trialdeelname verlagen, en de weg vrijmaken voor een patiëntgericht klinisch trial model.

Doel van het onderzoek

Primaire doel:

Het beoordelen van de haalbaarheid en therapietrouw van het thuismeten van verschillende aspecten van de ziektebeloop door patiënten met ALS, om zodoende een set van betrouwbare digitale parameters voor datacollectie - verzameld onder *free-living* condities - te ontwikkelen die patiëntgerichte uitkomstmaten reflecteren, en gebruikt kunnen worden in de ontwikkeling van effectieve behandelingen.

Secundaire hoofddoelen:

Het beoordelen van de discriminerende waarde van thuismetingen in het onderscheiden van verschillende subtypes van neuromusculaire ziekten (snelle versus langzame progressie).

Het beoordelen van de voorspellende waarde waarden van thuismetingen voor klinisch relevante uitkomstmaten (zoals sterfte, rolstolafhankelijkheid en respiratoire insufficiëntie).

Het beoordelen van de validiteit van een zelfstandige thuismeting versus een begeleidde meting in de kliniek.

Het vaststellen van de minimaal belangrijk verschil van thuismetingen.

Onderzoeksopzet

Longitudinale cohortstudie uitgevoerd in het UMC Utrecht met een twaalf maanden follow-up periode.

Inschatting van belasting en risico

Alle onderzoekshandeling zijn non-invasief en er zijn geen directe psychologische ongemakken gerelateerd aan deelname. Patiënten verrichten iedere maand digitale thuismetingen voor lichaamsgewicht, spirometrie, accelerometrie, spraakfunctie/gezichtmotoriek, en klinische ziekteprogressie. Op baseline en na 3 maanden zal een in-persona afspraak met een zorgprofessional plaatsvinden (huis- of ziekenhuisbezoek) voor de supervisie van spirometriemetingen. Bij voltooiing of vroegtijdig beëindigen van deelname aan de studie zal een afsluitend huis- of ziekenhuisbezoek plaatsvinden. Studiedeelname neemt ongeveer 13 uur in beslag gedurende de 12 maanden follow-up. Ontwikkeling van betrouwbare gevalideerde digitale parameters is van groot belang om de belasting van trialdeelname te verlagen, en zou de zoektocht naar een effectieve behandeling kunnen bevorderen. Gezien het lage risico en belasting van deze studie, geloven wij dat de voordelen opwegen tegen de nadelen.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

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)

1. Gediagnosticeerd met ALS volgens de Gold Coast criteria
2. ENCALS risk profiel tussen -6 en -2
3. 18 jaar of ouder
4. Instaat tot het geven van informed consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Respiratoire insufficie*ntie door het gebruik van non-invasieve beademing (NIV) voor >22 uur per dag voor 10 aaneengesloten dagen of het hebben van een tracheostomie

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Organisatorisch/zorgonderzoek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum:	27-01-2023
Aantal proefpersonen:	100
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-08-2022
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	16-06-2023
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	27-03-2025
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	NL79677.041.22