

Optimaliseren van het initiëren van non invasieve beademing bij ALS patiënten

Gepubliceerd: 08-03-2022 Laatste bijgewerkt: 29-04-2024

Het primaire doel van het onderzoek is om een voorspellend model te maken waardoor we kunnen identificeren welk (pheno) type ALS patiënt het meeste baat heeft bij non-invasieve beademing, gedefinieerd als behouden van of verbeteren van kwaliteit van...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON54861

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

INITIALS

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

amyotrofe lateraal sclerose (ALS), Motor neuron ziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Groningen

Overige ondersteuning: ALS stichting

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: amyotrofe lateraal sclerose, kwaliteit van leven, motor neuron ziekte, non

invasieve beademing

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaat is kwaliteit van leven gebaseerd op de vragenlijst

ALSAQ-40.

Het primaire doel van het onderzoek is om een voorspellend model te maken waardoor we kunnen identificeren welk (pheno) type ALS patiënt het meeste baat heeft bij non-invasieve beademing, gedefinieerd als behouden van of verbeteren van kwaliteit van leven.

Secundaire uitkomstmaten

- mening van patienten met ALS, die gestart zijn met NIV, over kwaliteit van informatievoorziening voorafgaand aan het starten met NIV, de timing van het starten met NIV en het effect van NIV.
- bepalen wat de redenen zijn voor het niet-starten met NIV en het stoppen met NIV.
- bepalen wat het effect is van NIV op overleving bij ALS patienten met verschillende phenotypes
- bepalen hoe kwaliteit van leven verandert in de tijd in zowel cohort 1 als cohort 2.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Chronische non-invasieve beademing (NIV) is anno 2020 een standaard behandeling bij patiënten met ALS indien zij respiratoir insufficiënt worden.

Dit is met name gebaseerd op slechts een Randomized Controlled Trial waarin bij patiënten met een goede bulbaire functie, een verbeterde survival en kwaliteit van leven werd gevonden. In een andere studie werd echter aangetoond dat ook bij een slechte bulbaire functie een verbeterde survival werd gevonden. Daarnaast werd in een recente retrospectieve studie gevonden dat chronische beademing toch niet zo effectief is t.a.v. kwaliteit van leven bij patiënten met ALS. Mogelijk omdat in deze studie later is gestart met de beademing dan in de RCT.

Op dit moment weten we dus niet goed bij welk type ALS patiënt NIV de kwaliteit van leven verbetert.

Gezien het resultaat in de RCT (Bourke e.a.) is het ethisch niet meer verantwoord om nogmaals een randomized clinical trial uit te voeren, waarbij de controle groep niet wordt behandeld met NIV.

Samengevat kan gesteld worden dat er gediscussieerd kan worden over de klinische waarde van non invasieve beademing, dat er matig bewijs voor is en dat we niet weten welk (pheno)type ALS patient een geschikte kandidaat is voor NIV. Tevens kan de timing van starten cruciaal zijn.

De internationale aanbevelingen over het starten van NIV bij ALS zijn expert-based. De adviezen verschillen en houden geen rekening met de verschillende karakteristieken van de ALS patienten

Gezien deze onzekerheden zijn er verschillende meningen over non invasieve beademing bij ALS zowel bij professionals als bij patienten.

Doel van het onderzoek

Het primaire doel van het onderzoek is om een voorspellend model te maken waardoor we kunnen identificeren welk (pheno) type ALS patiënt het meeste baat heeft bij non-invasieve beademing, gedefinieerd als behouden van of verbeteren van kwaliteit van leven.

Onderzoeksopzet

Design: multi center prospectieve cohort studie

Duur: de totale duur van de studie: 3,5 jaar. (+ 6 mnd erna tbv data analyse)

Inclusie periode: 30 maanden.

Follow up tijd: 9 mnd-1,5 jaar na inclusie.

Setting: betrokkenheid van alle 4 de CTB's (centrum voor thuisbeademing) in Nederland.

Procedure:

Tijdens het eerste bezoek aan het CTB zullen patiënten gevraagd worden of ze deel willen nemen aan de studie. Data zal verzameld worden tijdens reguliere behandel bezoeken aan het Centrum voor Thuisbeademing. Als onderdeel van het informed consent zal patiënten toestemming gevraagd worden om de volgende

medische gegevens op te vragen bij hun behandelend neuroloog of revalidatiearts:

- Datum van diagnose
- Type ALS op het moment dat de diagnose is gesteld
- ALSFRS-R op het moment dat de diagnose is gesteld
- Longfunctie op het moment dat de diagnose is gesteld
- Cognitieve status (ECAS, ALS-FTD-Q) op het moment dat de diagnose is gesteld
- Medische voorgeschiedenis

Nadat informed consent is verkregen zullen de volgende gegevens worden vastgelegd voor het onderzoek:

Eerste bezoek:

- Patiënt karakteristieken
- Vragenlijsten
- Longfunctie

Na het eerste bezoek zal obv medisch inhoudelijke criteria (Veldnorm chronische beademing / Richtlijn chronische beademing voor volwassene) besloten worden of patiënt wel of niet gaat starten met NIV.

Op basis van dit klinische besluit zullen patiënten worden ondergebracht in 1 van de 2 cohorten van het onderzoek:

- Cohort 1: patiënten die binnen 2 maanden na eerste bezoek CTB gaan starten met NIV
- Cohort 2: patiënten die niet starten met NIV

Cohort 1:

Data voor het onderzoek wordt vastgelegd tijdens reguliere behandelbezoeken na 3, 6 en 9 maanden.

- Patiënt karakteristieken
- Vragenlijsten
- Longfunctie

Aan 8 patiënten en 8 mantelzorgers zal gevraagd worden of zij benadert mogen worden voor een aanvullend interview over hun ervaring/mening over NIV (dit zal via een amendement volgen)

Cohort 2:

Data voor het onderzoek worden elke 3 maanden vastgelegd tijdens reguliere bezoeken aan CTB tot het moment dat patiënten starten met NIV, overlijden of maximaal 1.5 maanden na eerste bezoek CTB:

- Patiënt karakteristieken
- Vragenlijsten
- Longfunctie

Als een patiënt in cohort 2 wel gaat starten met NIV, dan gaat deze patiënt over naar cohort 1

Inschatting van belasting en risico

Er zijn geen significante risico's verbonden aan dit onderzoek. Er zijn geen

risico's die gerelateerd zijn aan de reguliere behandelafspraken. De vragenlijsten die worden afgenomen kunnen enige vermoeidheid veroorzaken. De longfunctieonderzoeken (spirometrie, bloedgas, transcutane nachtelijke CO2 meting middels SENTec) zijn reguliere zorg. De gegevens die verzameld worden voor het onderzoek (anamnese en diagnostiek) zijn gegevens die vastgelegd worden in het kader van reguliere zorg, tijdens reguliere afspraken. In een sporadisch geval zal eens gevraagd worden of een patiënt het CTB eerder wil bezoeken dan strikt nodig. Momenteel is er geen behandeling beschikbaar voor ALS en is de zorg palliatief. We verwachten dat dit onderzoek de zorg voor ALS patiënten met NIV verbetert. Gezien het ernstige beloop van de aandoening zijn wij van mening dat de potentiële voordelen van dit onderzoek de minimale belasting en risico's van de patiënten rechtvaardigt.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Groningen

Hanzeplein 1
Groningen 9713 GZ
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Groningen

Hanzeplein 1
Groningen 9713 GZ
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)

Leeftijd > 18 jaar

Patienten met de diagnose ALS, PLS of PSMA die het CTB (centrum voor thuisbeademing) voor het eerst bezoeken

In staat zijn om informed consent te tekenen

In staat zijn om zelfstandig of met hulp van een mantelzorger de vragenlijsten in te vullen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Indien een patient reeds gebruik maakt van non invasieve beademing of invasieve beademing tijdens het eerste bezoek aan het CTB (centrum voor thuisbeademing)
Zwangerschap

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 01-07-2022

Aantal proefpersonen: 250

Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Registratie: Geen registratie

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 08-03-2022

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 07-12-2022

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 24-07-2023

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-04-2024

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Groningen (Groningen)

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

ClinicalTrials.gov

CCMO

ID

NCT05033951

NL73166.042.21