

Behandeling met N-acetylcysteïne voor skin picking bij kinderen en jongvolwassenen met PWS: een gerandomiseerde, dubbelblind, placebo-gecontroleerde, cross-over studie

Gepubliceerd: 04-08-2020 Laatste bijgewerkt: 09-04-2024

Het doel van deze studie is het onderzoeken van de effecten van orale toediening van N-acetylcysteïne in vergelijking met placebo op skin picking gedrag in kinderen en jongvolwassenen met PWS.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON54933

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

NAC-behandeling voor skin picking in PWS

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Hypothalamus- en hypofyse-aandoeningen

Synoniemen aandoening

Prader-Willi syndroom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Stichting Kind en Groei

Overige ondersteuning: Stichting Kind en Groei

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: N-acetylcysteïne, Prader-Willi syndroom, Skin picking

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Verandering in het aantal en de grootte van de skin picking laesies.

Secundaire uitkomstmaten

Verandering in het repetitieve/obsessieve gedrag, gemeten met:

- Repetitive Behaviour Scale (RBS)
- Skin Picking-Symptom Assessment Scale (SP-SAS)
- Clinical Global Impression Scale (CGI)

Verandering in de kwaliteit van leven, gemeten met:

- Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL)

Verandering in de cortisol concentratie, gemeten in haar samples.

Verandering in de veiligheidsparamaters (laboratoriumparameters en lichamelijk onderzoek).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Naast de lichamelijke problemen, vertonen de meeste patiënten met het Prader-Willi syndroom (PWS) ook gedragsproblemen. Kinderen en jongvolwassenen met PWS kunnen onaangepaste gedrag en emotionele gedragsproblematiek vertonen, waaronder driftbuien, ongepast sociaal gedrag en zelfbeschadigend gedrag. Skin picking is de meest voorkomende vorm van zelfbeschadigend gedrag bij patiënten met PWS en kan leiden tot ernstige wonden en infecties. Verschillende onderzoeken hebben aangetoond dat N-acetylcysteïne een veelbelovende behandeling is voor patiënten met aandoeningen in het obsessief-compulsieve spectrum. N-acetylcysteïne herstelt de extracellulaire glutamaatconcentratie in de nucleus accumbens en dit mechanisme speelt mogelijk een rol bij het onderdrukken van dwangmatig gedrag. Een open-label pilotstudie toonde aan dat patiënten die behandeld werden met N-acetylcysteïne een vermindering in het skin picking gedrag vertoonden. Het doel van deze studie is om het effect van N-acetylcysteïne versus placebo te onderzoeken bij kinderen en jongvolwassenen met PWS die lijden aan skin picking.

Doel van het onderzoek

Het doel van deze studie is het onderzoeken van de effecten van orale toediening van N-acetylcysteïne in vergelijking met placebo op skin picking gedrag in kinderen en jongvolwassenen met PWS.

Onderzoeksopzet

Gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde, cross-over studie: gedurende drie maanden dagelijks N-acetylcysteïne inname, gedurende drie maanden placebo inname, met 3 maanden als wash-out periode tussen de cross-over.

Onderzoeksproduct en/of interventie

N-acetylcysteïne of placebo dagelijks in cross-over design. Inname volgens schema: <30kg: 4 weeks: 600mg 8 weeks: 1200mg >30kg < 59.99 kg: 4 weeks 600mg 4 weeks 1200mg 4 weeks 1800mg >60kg: 4 weeks 600mg 4 weeks 1200mg 4 weeks 2400mg

Inschatting van belasting en risico

Belasting: Dagelijkse orale inname van de tabletten gedurende een twee periodes van 3 maanden. Maximaal 5 ziekenhuisbezoeken in 9 maanden. Tijdens alle bezoeken worden de skin picking laesies gemeten en geteld en wordt lichamelijk onderzoek gedaan. Bij vier ziekenhuis bezoeken wordt bloed afgenomen.

Risico's: Gebaseerde op de huidige literatuur, verwachten wij geen ernstige bijwerkingen of adverse events tijdens de studie. De meest voorkomende bijwerkingen (0.01-1%) zijn: overgevoelheidsreacties zoals huidreacties met roodheid en jeuk, hoofdpijn en milde gastro-intestinale bijwerkingen zoals

misselijkheid, krampen, diarree en flatulentie. De patiënten en ouders zijn zeer gemotiveerd om deel te nemen aan deze studie, aangezien zij graag een oplossing zouden zien voor het skin picking gedrag.

Contactpersonen

Publiek

Stichting Kind en Groei

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016AH
NL

Wetenschappelijk

Stichting Kind en Groei

Westzeedijk 106
Rotterdam 3016AH
NL

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)

- Prader-Willi syndroom vastgesteld met genetisch onderzoek
- Leeftijd tussen de 6 - 25 jaar
- Skin picking gedrag voor tenminste één jaar, welke voldoet aan de DSM-5 criteria:
 1. Recidiverend huidpulken met huidlaesies tot gevolg.
 2. Herhaaldelijke pogingen om met het huidpulken te stoppen.
 3. Het huidpulken veroorzaakt klinisch significante lijdensdruk of beperkingen in het sociale of beroepsmatige functioneren of in het functioneren op andere belangrijke terreinen.
 4. Het huidpulken kan niet worden toegeschreven aan de fysiologische effecten van een middel of aan een somatische aandoening (zoals scabiës).
 5. Het huidpulken kan niet beter worden verklaard door de symptomen van een andere psychische aandoening (zoals wanen of haptische hallucinaties bij een psychotische stoornis, pogingen om de ervaren afwijkingen of onvolkomenheden van het uiterlijk te verbeteren bij de morfodysfoe stoornis, stereotypieën bij de stereotiepe-bewegingsstoornis of de intentie zichzelf schade toe te brengen bij een niet-suïcidale zelfbeschadiging).

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Ernstige psychiatrische problemen, zoals een actieve psychose of gedragsproblemen die studie deelname in de weg staan.
- Behandeling met N-acetylcysteïne in de afgelopen 3 maanden
- Recente (afgelopen 3 maanden) drugsmisbruik of afhankelijkheid volgens de DSM-5
- Initiatie van farmacotherapie, psychotherapie of gedragstherapie in de afgelopen 3 maanden.
- Behandeling met medicatie voor onderzoek of depotneuroleptica in de afgelopen 3 maanden.
- Noodzakelijke behandeling met andere medicatie dan NAC met mogelijke psychotrope effecten of ongunstige interacties met NAC.
- Astma (gezien de mogelijke verslechtering).
- Actieve maagzweer (gezien de mogelijke gastro-intestinale bijwerkingen en braken).

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	2
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Cross-over
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Dubbelblind
Controle:	Placebo
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	01-03-2021
Aantal proefpersonen:	35
Type:	Verwachte startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	Fluimucil
Generieke naam:	N-acetylcysteïne
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-08-2020
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	06-04-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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
EudraCT	EUCTR2019-000735-61-NL
CCMO	NL74197.078.20