

Vaatstijfheid bij jongens met Duchenne spierdystrofie

Gepubliceerd: 05-03-2020 Laatste bijgewerkt: 19-03-2025

Het doel van dit onderzoek is om te onderzoeken of DMD patiënten een verhoogde vaatstijfheid hebben en of behandeling met ACE-remmers hier invloed op heeft.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON54937

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Vaatstijfheid bij jongens met Duchenne spierdystrofie

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Spieraandoeningen
- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne spierdystrofie, ziekte van Duchenne

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ACE-remmers, Cardiomyopathie, Duchenne, Vaatstijfheid

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Vaatstijfheid van kinderen met DMD versus gezonde controles, gemeten als Pulse Wave Velocity (PWV) door de Arteriograph.

Secundaire uitkomstmaten

1. Heeft behandeling met ACE-remmers invloed op PWV (als surrogaat marker van vaatstijfheid) in DMD patienten
2. De relatie tussen PWV en de hartfunctie in DMD patienten
3. Vergelijking tussen PWV gemeten met de Arteriograph versus PWV gemeten op beelden van een cardiale MRI.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Cardiomyopathie in Duchenne spierdystrofie (DMD) komt vaak voor en wordt veroorzaakt door progressieve linker ventrikel (LV) fibrose. Dit leidt uiteindelijk tot LV dysfunctie en dilatatie. Factoren die de LV afterload vergroten, zoals vaatstijfheid, kunnen ervoor zorgen dat de LV functie sneller achteruit gaat.

Bij DMD is weinig bekend over het, dan wel niet, bestaan van verhoogde vaatstijfheid, wat de relatie is met LV dysfunctie en of vaatstijfheid beïnvloed wordt door gebruik van Angiotensine convertering enzyme (ACE) remmers. ACE-remmers zijn eerstelijns therapie voor DMD cardiomyopathie omdat uit eerder onderzoek bij DMD patienten is gebleken dat het ontstaan en de progressie van cardiomyopathie kan afremmen. Het is niet bekend hoe ACE-remmers hiervoor kunnen zorgen. Wel weten we dat ACE-remmers de vaatstijfheid bij niet-DMD patienten kunnen verminderen.

Recent zijn de Duchenne Care Considerations gepubliceerd. Dit zijn

internationale richtlijnen voor de behandeling van DMD. De richtlijnen raden aan om te starten met ACE remmers vanaf 10 jarige leeftijd. Dit advies is grotendeels gebaseerd op opinie van experts. Er is daarom meer onderzoek nodig naar het beloop en risico's van cardiovasculaire aandoeningen bij DMD. Dit kan leiden tot een beter afgewogen, en meer individueel behandeladvies.

Doel van het onderzoek

Het doel van dit onderzoek is om te onderzoeken of DMD patienten een verhoogde vaatstijfheid hebben en of behandeling met ACE-remmers hier invloed op heeft.

Onderzoeksopzet

Dit prospectieve observationele onderzoek zal worden uitgevoerd in het LUMC en bestaan uit een cross sectioneel en longitudinaal deel.

Het cross sectionele deel:

-Patienten zullen worden geincludeerd tijdens het bezoek aan het multidisciplinaire spreekuur voor zorg. Op deze dag zal de vaatstijfheid worden gemeten met behulp van een Arteriograph (niet invasief apparaat vergelijkbaar met een bloeddrukmeter).

Het longitudinale deel:

-Patienten die in het kader van zorg voor Duchenne gaan starten met ACE-remmers zullen worden gevraagd om deel te nemen aan het longitudinale deel van de studie met een nieuw informed consent formulier. Ook patienten en hun ouders die ervoor hebben gekozen om niet te starten met ACE-remmers (eigen keuze) zullen worden gevraagd om deel te nemen. De duur van het longitudinale deel van de studie is 1 jaar per patient (zie ook protocol sectie 8).

Inschatting van belasting en risico

De studiepopulatie bestaat uit (jonge) kinderen.

Er zijn geen risico's geassocieerd met de PWV meting door de Arteriograph. Het werkingsmechanisme van dit apparaat is vergelijkbaar met een reguliere bloeddrukmeter en is dus non-invasief. DMD kinderen zijn gewend aan bloeddrukmetingen voor zorg. De belasting wordt daarom als laag ingeschat.

De patienten zullen zelf geen direct voordeel hebben bij deelname aan de studie. De uitslag kan echter helpen om meer inzicht te krijgen in vroege manifestaties van cardiomyopathie in DMD en het identificeren van mogelijke risicofactoren voor versnelde achteruitgang van de LV functie. Dit kan bijdragen aan een meer evidence-based behandeling van DMD patienten met ACE-remmers.

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

Adolescenten (12-15 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Duchenne patiënten

Inclusiecriteria voor patiënten in het cross sectionele deel van de studie

- Leeftijd tussen 4-15 jaar
- Diagnose bevestiging door DNA of spierbiopt
- Patiënten komen op multidisciplinair spreekuur voor Duchenne jongens in het LUMC

Additionele inclusiecriteria voor het longitudinale deel van de studie:

-Voorstel start ACE-remmers als onderdeel van de zorg

Gezonde controles:

4-12 jaar

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Eerder gebruik of huidig gebruik van ACE-remmers
- Onmogelijkheid om plat te liggen voor echocardiografie
- Onmogelijk om de afstand tussen jugulum en symphyse te meten

Gezonde controles:

- (eerder)gebruik van hartmedicijnen
- Onmogelijkheid om plat te liggen of om jugulum symfyse afstand te meten
- Een spierziekte

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Onderzoeksmodel: Anders

Toewijzing: Niet-gerandomiseerd

Blinding: Open / niet geblindeerd

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 23-06-2020

Aantal proefpersonen: 56

Type: Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Generieke naam: Arteriograph

Registratie:

Geregistreerd voor gebruik zoals toegepast in onderzoek

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 05-03-2020

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

Goedgekeurd WMO

Datum: 02-08-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-09-2021

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

ID: 23048

Bron: Nationaal Trial Register

Titel:

In overige registers

Register

Ander register

CCMO

OMON

ID

Nederlands trial register NL8429

NL71572.058.19

NL-OMON23048