

Een studie naar veiligheid, effectiviteit en haalbaarheid van het KETOgeen dieet bij Mitochondriële MYopathie

Gepubliceerd: 26-08-2020 Laatste bijgewerkt: 09-04-2024

Onze voorgestelde pilotstudie onderzoekt de veiligheid, haalbaarheid en werkzaamheid van ketogeen dieet bij volwassenen met mitochondriale myopathie om de inspanningsintolerantie te verbeteren en zoeken naar biomarkers die mogelijk de reactie van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON55294

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

KETOMY

Aandoening

- Metabole aandoeningen en voedingsstoornissen, congenitaal
- Aangeboren metabolismestoornissen

Synoniemen aandoening

energiestofwisselingsziekte, OXPHOS defect

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Danone Vitapole, grant gewonnen van Danone research

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: ketogeen dieet, mitochondriële ziekten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Veiligheid

Bijwerkingen

- Haalbaarheid

Aantal patiënten dat de interventie van 12 weken voltooit

- Werkzaamheid

VO₂max / piek tijdens maximale incrementele inspanningstest

Biomarkers

- metabolomics

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire uitkomsten veiligheid:

bloedtest voor:

* glucose (voor het optreden van hypoglykemie),

* lipidenprofiel: (triglyceriden, lipoproteïne met hoge dichtheid (HDL),

lipoproteïne met lage dichtheid (LDL), totaal cholesterol),

* Urinezuur

* ALAT

* bloedgas (inclusief bi-carbonaat, lactaat, glucose, natrium en kalium)

Secundaire resultaten haalbaarheid:

* Aantal patiënten dat erin slaagt om ketonlichamen van *2 te bereiken

- * Reden van afhaken
- * Koolhydraatname in voedselrecord als variabele voor het volgen van het dieet
- * Vragen over de haalbaarheid van het dieet.

- secundaire uitkomstmaten werkzaamheid

Primaire uitkomst: VO₂max / piek tijdens maximale incrementele inspanningstest

Secundaire resultaten:

- * Spiercontractiele functie
- * Vermoeidheid: CIS-vermoeidheid
- * Levenskwaliteit: SF 12
- * Hoofdpijn: dagboek
- * Vragen over de voordelen van het dieet.
- * Activiteit en energieverbruik: Actometer (METS)

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Mitochondriale myopathie is een veel voorkomende presentatie van mitochondriale ziekte, waarvoor geen curatieve therapie bestaat. Dieet kan bij deze patiënten een belangrijke ziektemodificator zijn, omdat het de essentiële voedingsstoffen levert voor mitochondriën om energie te produceren. Ketogeen dieet is effectief gebleken voor de behandeling van hardnekkige epilepsie bij kinderen met of zonder een mitochondriale ziekte. In celstudies en muizenmodellen voor mitochondriale myopathie, verbeteren ketonlichamen of ketogene diëten de mitochondriale functie aanzienlijk en vertragen ze de ziekteprogressie. De hypothese is dat door de heterogeniteit van mitochondriale ziekten niet alle patiënten op dezelfde manier op de dieetinterventie zullen reageren. Ketogene diëten kunnen bijwerkingen veroorzaken, zoals hoofdpijn, vermoeidheid, gewichtsverlies, misselijkheid en gastro-intestinale symptomen. Meer recentelijk toonde een onderzoek bij vijf patiënten met een mitochondriale myopathie spierschade en verhoogde spierpijn na twee weken aangepast

Atkins-dieet (mAD) als een potentiële bijkomende ernstige bijwerking.

Doel van het onderzoek

Onze voorgestelde pilotstudie onderzoekt de veiligheid, haalbaarheid en werkzaamheid van ketogeen dieet bij volwassenen met mitochondriale myopathie om de inspanningsintolerantie te verbeteren en zoeken naar biomarkers die mogelijk de reactie van patiënten op het MAD kunnen voorspelen of verklaren.

Onderzoeksopzet

een armige dieetinterventiestudie, pilootstudie met gezonde controles

Onderzoeksproduct en/of interventie

Modified Atkins-dieet (is vorm van ketogeen dieet)

Inschatting van belasting en risico

Kans op bijwerkingen van het ketogeen dieet.

Bijwerkingen die het vaakst zijn beschreven en eventueel tijdens het onderzoek kunnen optreden zijn:

- darmklachten
- misselijkheid
- gewichtsverlies
- griepachtige klachten en vermoeidheid met name in begin (ketoflu wordt dat ook wel genoemd)
- lage bloedsuikers
- omkeerbare spierschade en spierpijn met verhoogde CK spiegels

gezonde controles: kleiner risico met name milde maag darm klachten of ketoflu

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert groteplein zuid 10
Nijmegen 6525 GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert groteplein zuid 10
Nijmegen 6525 GA
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. genetisch bewezen mitochondriële ziekte
2. leeftijd $\geq$ 18 jaar
3. Myopathie kan bestaan uit spierzwakte of inspanningsintolerantie gemeten met NMDAS score van minimaal 1 of hoger.
4. beheersing van Nederlandse taal
5. in staat 12 weken het dieet te volgen denk hierbij aan cognitie en kook vaardigheden
6. getekend informed consent

voor gezonde controles 1 en 6 en gezond en geen medicatie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. verhoogd CK > 1000 u/l
2. ondervoeding: BMI < 20 kg/m²
3. hartfalen / pacemaker

4. familiairehypercholesterolemie
5. Diabetes Mellitus
6. niet in staat de fietstest te doen

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	13-10-2020
Aantal proefpersonen:	35
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	26-08-2020
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-05-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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	NL74312.091.20