

Beeldvorming van spierprestaties tijdens inspanning om therapie te monitoren

Gepubliceerd: 02-01-2020 Laatste bijgewerkt: 09-04-2024

De ontwikkeling en validatie van het IMPACT-platform, een diagnostisch 7T-beeldvormingsplatform dat in staat zal zijn om de vroege effecten van farmacologische behandeling te detecteren met behulp van 31-fosfor Magnetic Resonance Spectroscopy (31P)...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON55333

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Impact

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Spinale Atrofie, Spinale Musculaire Atrofie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: TKI

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Beeldvorming, Behandeling, Spinale Musculaire Atrofie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De belangrijkste onderzoeksparameters zijn verschillen in de grootte en snelheid van veranderingen in de concentraties van fosfocreatine (PCr), anorganisch fosfaat (Pi) en pH in armspieren tijdens dynamische inspanning van m. biceps en m. triceps en het herstel van deze spieren door middel van een meting voorafgaand en na twee maanden van farmacologische behandeling

Secundaire uitkomstmaten

- 1) Spierfunctie (kracht, uithoudingsvermogen en / of kracht)
- 2) Motorfunctie (bovenste ledematen, algemeen)
- 3) Door patiënten gemelde uitkomstmaten
 - a. Vragenlijst over fysieke activiteit
 - b. Vragenlijst over functionele status
 - c. Vragenlijst over vermeende vermoeidheid

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

In 2016 is er een eerste medicijn goedgekeurd voor behandeling van SMA. De bemoedigende resultaten van verschillende fase 1 en 2 studies suggereren dat er in de komende jaren meerdere geneesmiddelen beschikbaar zullen komen. Een grote uitdaging hierin is dat er een gebrek is aan een gevoelige uitkomstmaat. Het is dan ook van groot belang om methoden te ontwikkelen die de effecten van (dure) behandelingen te kunnen monitoren.

Doel van het onderzoek

De ontwikkeling en validatie van het IMPACT-platform, een diagnostisch 7T-beeldvormingsplatform dat in staat zal zijn om de vroege effecten van farmacologische behandeling te detecteren met behulp van 31-fosfor Magnetic Resonance Spectroscopy (31P) MVR).

Onderzoeksopzet

Een longitudinale observationele cohort-studie.

Inschatting van belasting en risico

De deelnemers bezoeken 5 keer het UMC waarvan in het Spinraza cohort 4 en in het Pyridostigmine cohort 2 afspraken gepland zullen worden samen met reguliere / reguliere controlebezoeken aan de polikliniek van het Kindercentrum van Spieren voor Spieren of afdeling Neurologie. In het Spinraza en het Risdiplam cohort zullen patiënten dan ook gevraagd worden 1 maal extra naar het ziekenhuis te komen. In het cohort van gebruikers van Pyridostigmine worden patiënten gevraagd 3 maal extra naar het ziekenhuis te komen. Patiënten zullen worden gevraagd om één oefentest buiten de scanner uit te voeren en drie maal een inspannings-MRI ondergaan. Deze scan duurt ongeveer 30 minuten waarin patiënten een aantal keer wordt gevraagd zich kortdurend in te spannen door bewegingen met de armen te maken.

De deelnemers vullen drie maal tijdens het onderzoek een vragenlijst in over de functionele status, het niveau van lichaamsbeweging en vermoeidheid thuis. Gegevens over anthropometrie, motoriek en spierkracht zullen waar mogelijk worden verkregen uit standaardzorg fysiotherapie beoordelingen of aanvullend worden beoordeeld door de onderzoeker. Standaardzorg omvat een multidisciplinair onderzoek van 2-4 keer per jaar, inclusief vergelijkbare motorfunctietests, spierkrachtbeoordelingen en vragenlijsten die in het algemeen ongeveer 3 uur duren. Het SMA-expertisecentrum in het UMCU is het nationale verwijzingscentrum voor patiënten met SMA met betrekking tot behandeling en deelname aan een onderzoek. Patiënten uit alle delen van Nederland bezoeken het UMCU 1-4 keer per jaar. 31P-MRS is een veilige en betrouwbare techniek voor proefpersonen zonder contra-indicaties voor het ondergaan van MRI en wordt veel gebruikt bij klinisch onderzoek en wetenschappelijk onderzoek voor het niet-invasief verkrijgen van in-vivo metingen van de concentraties van fosforhoudende metabolieten in het menselijk lichaam. Een vergelijkbaar lopend studierapport bevat geen AE's en goede haalbaarheid (METC nr. 17/776). Om de veiligheid en haalbaarheid te waarborgen, zal het IMPACT-protocol uitgebreid worden getest door een pilot bij gezonde proefpersonen volgens het METC-protocol nr. 15-466. Na succesvolle testen bij gezonde proefpersonen, zullen twee patiënten met SMA worden opgenomen voor de testfase. De criteria van de Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde met betrekking tot onderzoek met kinderen worden strikt toegepast. Proefpersonen zullen geen directe voordelen ondervinden door deel te nemen aan deze studie. Aan het einde van dit onderzoek zullen patiënten en clinici echter meer inzicht

krijgen in de vroege effecten van farmacologische behandeling, wat hen zal helpen bij beslissingen over behandelingstrajecten.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584CX
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584CX
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Genetisch bevestiging van de diagnose SMA

Alle SMA typeringen
Leeftijd van 12 jaar en ouder.
Gestandaardiseerde dosering van de voorgeschreven behandeling
In staat en bereid om consent te geven/ ouders die in staat en bereid zijn om consent te geven voor deelnamen.
Mogelijkheid om testinstructies te volgen
Voldoende kennis van de Nederlandse taal

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Zwangerschap
Mentale retardatie
(Overige) relevante medische aandoeningen; dat wil zeggen comorbiditeiten die invloed hebben op de inspanningstolerantie
Lopend onderzoek naar niet-gediagnosticeerde ziekte op het moment van onderzoek
Contra-indicaties voor MRI-onderzoek volgens de 7T MRI-screeningsrichtlijn van het UMCU

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Blinding: Open / niet geblindeerd
Controle: Geen controle groep
Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland
Status: Werving gestart
(Verwachte) startdatum: 16-11-2020
Aantal proefpersonen: 30
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	02-01-2020
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-09-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	05-02-2021
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	NL69612.041.19