

Europees Spinocerebellaire ataxie type 3 cohort

Gepubliceerd: 23-03-2017 Laatste bijgewerkt: 15-04-2024

Een trial-ready cohort opzetten door 7 Europese en 1 US cohort samen te brengen en nieuwe proefpersonen te includeren. Hierdoor zal een cohort van meer dan 800 proefpersonen ontstaan met toepassing en validatie van nieuwe klinimetrische tests,...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Bewegingsstoornissen (incl. parkinsonisme)
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON55616

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

ESMI

Aandoening

- Bewegingsstoornissen (incl. parkinsonisme)

Synoniemen aandoening

cerebellaire dysfunctie, probleem met coördinatie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Neurologie

Overige ondersteuning: Joint Program Neurodegenerative Disease Research

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Ataxie, SCA3

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Groot trial-ready cohort bestaande uit dragers en patiënten met een SCA3 mutatie met data van klinische testen, klinimetrie, imaging en biomarkers.

Secundaire uitkomstmaten

na

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

SCA3 is de meest voorkomende dominant overerfelijke vorm van spinocerebellaire ataxie. Er is toegenomen kennis van de moleculaire mechanismen die aan deze ziekte ten grondslag liggen, nieuwe therapeutische benaderingen worden ontwikkeld en SCA3 zal in een fase van intensieve trials terecht komen. Om deze interventionele trials te faciliteren is de beschikbaarheid van grote cohorten bestaande uit preklinische en aangedane patiënten noodzakelijk.

Doel van het onderzoek

Een trial-ready cohort opzetten door 7 Europese en 1 US cohort samen te brengen en nieuwe proefpersonen te includeren. Hierdoor zal een cohort van meer dan 800 proefpersonen ontstaan met toepassing en validatie van nieuwe klinimetrische tests, automatische MRI volumetrische analyse, DTI en bloed en CSF markers gebaseerd op transcript profiling en meting van ataxin-3 (ziekte-eiwit).

Onderzoeksopzet

Observationeel, longitudinaal cohort

Inschatting van belasting en risico

Gedurende 3 jaar 1 bezoek per jaar van ongeveer 3,5 uur. Hierbij worden klinische tests en vragenlijsten afgenomen. Bloedafname zal tijdens ieder bezoek plaatsvinden. Bij ongeveer 15 patiënten zullen klinimetrische data verzameld worden. Tijdens de helft van deze bezoeken zal een nieuwe MRI-scan verricht worden. Als optioneel onderdeel wordt aan patiënten gevraagd een ruggenprik te ondergaan. Ongeveer 10 patiënten zullen in de thuis situatie 14

dagen gebruik maken van een tablet-app.

Contactpersonen

Publiek

Selecteer

Reinier Postlaan 4
Nijmegen 6525 GC
NL

Wetenschappelijk

Selecteer

Reinier Postlaan 4
Nijmegen 6525 GC
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)

Patiënten en dragers van SCA3 mutatie
18 jaar en ouder

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Andere neurologische aandoeningen in uw ziektegeschiedenis heeft, bijvoorbeeld een

herseninfarct.

* Epilepsie heeft.

* Een angst heeft voor kleine ruimtes.

* Er zich metalen voorwerpen in uw lichaam bevinden (bijvoorbeeld platen, schroeven, vaatclips, prothesen etc.).

* Er zich elektronische apparatuur in uw lichaam bevindt (bijvoorbeeld een insulinepomp of een pacemaker).

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd

Doel: Anders

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	01-05-2017
Aantal proefpersonen:	35
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	23-03-2017
Soort:	Eerste indiening

Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-11-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-03-2019
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-09-2020
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-08-2021
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	NL58267.091.16