

Enroll-HD: Een prospectieve registratiestudie in een wereldwijd cohort van personen met de ziekte van Huntington

Gepubliceerd: 14-07-2014 Laatste bijgewerkt: 29-04-2024

Enroll-HD heeft meerdere doelen opgesteld: Doelstelling 1: Meer inzicht verkrijgen in het dynamische, fenotypische spectrum, beloop en de ziektemechanismen van ZvH door: a. natuurlijk historische gegevens over cognitie, gedrag en motoriek te...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON55913

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Enroll-HD

Aandoening

- Bewegingsstoornissen (incl. parkinsonisme)

Synoniemen aandoening

Ziekte van Huntington

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: CHDI Foundation, Inc.

Overige ondersteuning: CHDI Foundation; Inc.; New York; VS

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Enroll-HD, Longitudinaal, Wereldwijde observationele studie, Ziekte van Huntington

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Er zijn geen vastgestelde uitkomstmaten binnen Enroll-HD. Deze observationele studie is continu en biedt een platform voor communicatie en uitwisseling van kennis en ideeën over de ziekte en wil als basis dienen voor onderzoek. Met de verkregen data zullen zo veel als mogelijke (veelal nog op te stellen) onderzoeksvragen beantwoord worden.

Secundaire uitkomstmaten

n.v.t.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Huntington (ZvH) is een neurodegeneratieve aandoening die niet geslachtsgebonden dominant erfelijk is. Het wordt veroorzaakt door een instabiele geëxpandeerde trinucleotide repeat (CAG) op het IT-15 gen. De prevalentie is 5-10 per 100.000. De klinische symptomen beginnen gemiddeld rond de 40e levensjaar: motorische afwijkingen, cognitieve achteruitgang en psychiatrische stoornissen. Het beloop is progressief en leidt tot functioneel disfunctioneren en dood binnen 10-20 jaar. Door middel van een DNA-test kunnen risicodragers zich predictief laten testen om te bepalen of ze al dan niet gendrager zijn vóór het begin van klachten en symptomen. Op dit moment is er nog geen therapie beschikbaar die de ziekte kan voorkomen of vertragen. Belovende resultaten van interventies in Huntington modellen zijn bekend maar de voorspellende waarde ervan voor de mens is nog onbekend. Omdat de ZvH een zeldzame ziekte is, is uitgebreide samenwerking nodig om het benodigde aantal deelnemers te kunnen includeren voor observationele en interventie studies met een goede power.

Doel van het onderzoek

2 - Enroll-HD: Een prospectieve registratiestudie in een wereldwijd cohort van perso ... 5-05-2025

Enroll-HD heeft meerdere doelen opgesteld:

Doelstelling 1: Meer inzicht verkrijgen in het dynamische, fenotypische spectrum, beloop en de ziektemechanismen van ZvH door:

- a. natuurlijk historische gegevens over cognitie, gedrag en motoriek te verzamelen om de progressie van ZvH in te kunnen schatten en inzicht te verkrijgen in de neurobiologie van ZvH
- b. gegevens en biologische monsters te verzamelen voor het identificeren van genetische en omgevingsfactoren die het ZvH-fenotype en de progressie van de ziekte beïnvloeden en/of wijzigen, en
- c. exploratieve onderzoeken te promoten die aanwijzingen kunnen opleveren voor de pathogenese van ZvH.

Doelstelling 2: De ontwikkeling van op bewijzen gebaseerde (evidence-based) richtlijnen te bevorderen met als doel informatie voor de klinische besluitvorming te verstrekken en de gezondheidsresultaten voor de deelnemer/familie te verbeteren door:

- a. het ondersteunen van het identificeren van nuttige interventies (klinisch, farmacotherapeutisch, niet-farmacologisch)
- b. de verspreiding en implementatie van huidige voorgestelde beste klinische praktijken/symptomatische behandelingen te bevorderen
- c. een platform te bieden voor het uitvoeren van resultaatgericht onderzoek, en
- d. verkennende gegevensanalyse projecten te bevorderen die processen kunnen identificeren voor een verdere verbetering van de gezondheidszorg van getroffen personen en hun familieleden

Doelstelling 3: Een platform bieden ter ondersteuning van het opzetten en de uitvoering van klinische onderzoeken door:

- a. ondersteuning te bieden voor de identificatie, ontwikkeling en kwalificatie van nieuwe beoordelingsinstrumenten, klinische eindpunten en biomarkers
- b. longitudinale gegevens te verzamelen om informatie aan te leveren voor ziektemodeleringsonderzoeken, en
- c. het identificeren van potentiële klinische onderzoeksdeelnemers te vergemakkelijken door de selectie van potentiële klinische onderzoeksdeelnemers uit te voeren aan de hand van de geschatte en gekwantificeerde curven/snelheden van de ziekteprogressie (het verstrekken van 'run-in' gegevens)

Om deze doelstellingen te realiseren, worden op gepaste wijze anoniem gemaakte en gecodeerde klinische gegevens en biologische monsters van onderzoeksdeelnemers beschikbaar gemaakt voor onderzoekers t.b.v. onderzoeksdoeleinden, in overeenstemming met de procedures die zijn goedgekeurd door de stuurgroep.

Onderzoeksopzet

Enroll-HD is een prospectieve, multinationale, multicenter, observationele studie zonder experimentele behandeling.

Inschatting van belasting en risico

Omdat Enroll-HD een observationele studie is, zijn er geen risico's verbonden voor de deelnemers. Hun belasting wordt tot een minimum gereduceerd aangezien het verzamelen van de gegevens en lichaamsmateriaal tijdens en/of aansluitend, vlak na de reguliere patiëntenzorg op de afdeling Neurologie of verpleegtehuis plaatsvindt. Deelname aan het project leidt niet tot een rechtstreeks therapeutisch effect. Een potentieel voordeel is dat door deelname er sneller en betrouwbaarder onderzoek mogelijk is naar de ontwikkeling en progressie van de klinische symptomen zodat patiënten en familieleden hier beter over kunnen worden geïnformeerd. Bovendien leidt dit tot een verbetering in de diagnostiek van de ziekte en in de kwaliteit van de zorg en biedt het project de mogelijkheid tot deelname aan interventie studies naar de preventie en vertraging van het beloop.

Contactpersonen

Publiek

CHDI Foundation, Inc.

155 Village Boulevard Suite 200
Princeton NJ 08450
US

Wetenschappelijk

CHDI Foundation, Inc.

155 Village Boulevard Suite 200
Princeton NJ 08450
US

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)

Personen die in aanmerking komen voor deelname aan Enroll-HD worden ingedeeld in twee hoofdcategorieën:

1. Draggers: Deze groep vormt de voornaamste onderzoekspopulatie en bestaat uit personen die de expansiemutatie van het ZvH-gen hebben.
2. Controlegroep: Deze groep vormt de vergelijkings-populatie van het onderzoek en bestaat uit personen die geen expansiemutatie van het ZvH-gen hebben.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

1. Personen die niet aan de inclusiecriteria voldoen.
2. Personen met choreatische bewegingsstoornissen in de context van een negatieve test voor de genetische mutatie voor ZvH.
3. Voor de controlegroep uit de gemeenschap: personen met een ernstige aandoening van het centraal zenuwstelsel (bijv. beroerte, ziekte van Parkinson, multiple sclerose etc.).

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	07-10-2014
Aantal proefpersonen:	800
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	14-07-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	17-11-2014
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	13-04-2016
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO	
Datum:	04-01-2021
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
	metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 16-01-2023
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

Goedgekeurd WMO
Datum: 12-10-2023
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)
metc-ldd@lumc.nl

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
ClinicalTrials.gov	NCT01574053
CCMO	NL45724.058.13