

Echografie en MRI om de spiercontractiele prestaties in FSHD te beoordelen.

Gepubliceerd: 29-11-2023 Laatste bijgewerkt: 18-01-2025

Primaire doelstelling: Deze studie zal het nut beoordelen van door echografie gedefinieerde spiercontractiele prestaties als biomarker voor het monitoren van ziekteprogressie en behandelingseffecten bij patiënten met FSHD. Fase I: primaire...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON56047

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

MUSCLE+

Aandoening

- Skeletspierstelsel- en bindweefselaandoeningen, congenitaal
- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

facioscapulohumerale dystrofie, ziekte van Landouzy-Dejerine

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: SolveFSHD - Vancouver;Canada

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: FSHD, Spier architectuur, Spier echografie, Spier MRI

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Fase I:

In de eerste fase zullen we ons concentreren op de gegevens die zijn verzameld met behulp van het Biodex-systeem. De primaire uitkomstparameter is herhaalbaarheid, waarbij we de mate van overeenstemming onderzoeken van de herhaalde echografie metingen met de krachtopwekking en oppervlakte-elektromyografie (sEMG) metingen:

- o Biodex: Dynamometrische krachtopwekking

Piekkoppel (Nm)

Tijd tot piekkoppel (mSec)

Hoek van piekkoppel (Deg)

Tijdssnelheid van spanningsontwikkeling (Nm)

- o Echografie: spikkelopsporing

Deformatie (%)

Verplaatsing (mm)

Spiercontractiele prestaties

- o Echografie: Ultrasnelle Shear Wave Elastography Imaging (UF-SWEI)

Spierstijfheid (N/mm²)

- o sEMG

Neurale invoer/activering (mV)

De gegevens in fase I worden eerst verzameld bij 15 gezonde deelnemers door 3 herhaalde metingen uit te voeren om het meest haalbare en herhaalbare protocol voor deze groep te ontwikkelen. Vervolgens worden bij 10 patiënten met FSHD type 1 of 2 dezelfde repeterende metingen uitgevoerd om te controleren of het protocol ook bij patiënten uitvoerbaar en herhaalbaar is of dat er aanpassingen nodig zijn.

Fase II:

Naast de metingen in fase I, zal fase II zich richten op het verzamelen van Biodex-maatregelen bij meer patiënten (n=50) en gezonde deelnemers (n=25). Verder zullen alle patiënten een MRI-scan krijgen. Aan de hand van de MRI data kijken we met name naar de hoeveelheid vet en oedeem in de spier aanwezig is, maar ook naar het spiercontractie volume. In fase 2, is de primaire uitkomstparameter de relatie tussen de spiercontractie prestatie, klinische metingen, overige echografie- en MRI-metingen bij zowel gezonde deelnemers als patiënten met FSHD. De tweede uitkomstparameter is de gevoeligheid voor verandering na 1 jaar follow-up van de parameters die in de bovenstaande fasen zijn genoemd.

Secundaire uitkomstmaten

n.v.t.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

FSHD is een langzaam progressieve spierdystrofie die wordt gekenmerkt door initiële asymmetrische zwakte. De aanname dat verlies van spiervezels lineair kan worden vertaald in krachtverlies, is onlangs echter in twijfel getrokken. Er is nog steeds een gebrek aan studies over hoe de verstoorde spierarchitectuur bij spierdystrofieën de contractiele prestaties beïnvloedt. Daarom is het mogelijk dat spiercontractiele prestaties de intermediaire factor kan zijn bij krachtverlies in FSHD. Spierbeeldvorming heeft eerder bijgedragen aan een beter begrip van de pathofysiologie van verschillende neuromusculaire aandoeningen. Zowel MRI als echografie hebben hun klinische relevantie bij neuromusculaire dystrofie bewezen. Met de huidige ontwikkeling van FSHD klinische studies, groeit de behoefte aan biomarkers om de ziekteprogressie te volgen. In dit project zal worden onderzocht of spiercontractiele prestatie het verlies aan kracht kan helpen verklaren en daardoor ook of het de potentie heeft om als toekomstige biomarker te fungeren.

Doel van het onderzoek

Primaire doelstelling: Deze studie zal het nut beoordelen van door echografie gedefinieerde spiercontractiele prestaties als biomarker voor het monitoren van ziekteprogressie en behandelingseffecten bij patiënten met FSHD.

Fase I:

primaire doelstelling(en):

1. Om de haalbaarheid, het optimale protocol en de herhaalbaarheid vast te stellen van het kwantificeren van door echografie gedefinieerde contractiele prestaties in de spieren van de bovenste en onderste ledematen bij gezonde vrijwilligers en patiënten met FSHD.

Fase II:

Primaire doelstelling(en):

1. Vaststellen van de verschillen in door echografie gedefinieerde contractiele prestaties tussen gezonde personen en patiënten met FSHD, en vergelijken met conventionele klinische metingen, echografiemetingen en MRI-metingen.

2. Het bepalen van de responsiviteit van echografisch gedefinieerde contractiele prestaties op ziekteprogressie bij FSHD-patiënten na 1 jaar, en vergelijken met MRI-metingen en andere echografische metingen.

Onderzoeksopzet

Deze prospectieve cohortstudie bestaat uit twee verschillende fasen. In fase I zullen de haalbaarheid van het kwantificeren van de contractiele prestaties van spierechografie worden beoordeeld. In fase II worden de verschillen in echografie gedefinieerde contractiele prestatie tussen gezonde proefpersonen en patiënten met FSHD onderzocht en wordt dit ook vergeleken met andere echografie parameters, conventionele parameters en MRI-parameters. Daarnaast wordt ook de

responsiviteit op verandering na 1 jaar geanalyseerd.

Inschatting van belasting en risico

In dit onderzoek zijn de risico's voor de deelnemers verwaarloosbaar. Deelnemers hebben niet direct baat bij een bijdrage aan dit project. Het wetenschappelijke voordeel van dit project is de toekomstige beschikbaarheid van een mogelijke nieuwe beeldvormingsbiomarker die reageert op veranderingen en die kan worden gebruikt in nieuwe klinische onderzoeken.

Proefpersonen in fase 1:

Gezonde deelnemers worden verwacht 1 keer het Radboudumc te bezoeken in fase 1. Ook patiënten met FSHD worden verwacht 1 keer het Radboudumc te bezoeken in fase 1

Proefpersonen in fase 2:

Gezonde deelnemers worden minimaal 1 keer en maximaal 2 keer in fase 2 verwacht het ziekenhuis te bezoeken. Patiënten worden verwacht minimaal 4 keer het Radboudumc te bezoeken in verband (afhankelijk of sommigen metingen op 1 dag gepland kunnen worden) met de vervolgmetingen na 1 jaar. .

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525GA
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)

Alle deelnemers:

- leeftijd tussen de 18 en 70 jaar.
- geïnformeerde toestemming is gegeven door de deelnemer.
- Vaardigheid om de schriftelijke en gesproken instructies in het Nederlands te begrijpen.
- Bereidheid en vaardigheid om de aard en inhoud van de studie te begrijpen.

Patiënten met FSHD:

- Klinisch en genetisch bewezen FSHD type 1 of type 2.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Alle deelnemers:

- BMI ≥ 35
- Andere ziektes die diffuus de spierintegriteit aantast of de beeldvormende verschijning verstoord voorbijgaand aan wat kan worden geëxtrapoleerd.
- Rolstoel afhankelijkheid
- Zwangerschap

Deelnemers die in fase 2 een MRI ondergaan:

- Eventuele contra-indicaties voor MRI, waaronder:
 - o Claustrofobie
 - o Pacemakers en defibrillatoren
 - o Zenuwstimulatoren
 - o intracraniale clips

- o Intraorbitale of intraoculaire metalen fragmenten
- o Cochleaire implantaten
- o Ferromagnetische implantaten (bijv. thoracaal implantaat voor scoliose)
- o Onvermogen om 60 minuten op de rug te liggen
- o Noodzaak van (continue) ventilatie overdag
- o Scoliose-operatie

Gezonde deelnemers:

- Elke bekende zenuw of spier aandoening die de gemeten spier beïnvloedt.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Diagnostiek

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	10-04-2024
Aantal proefpersonen:	100
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-11-2023
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	20-12-2023

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	NL84168.091.23