

Track-HD

Gepubliceerd: 18-09-2007 Laatste bijgewerkt: 10-05-2024

Track-HD is opgezet om de klinische kenmerken, genetische factoren en biomarkers aan elkaar te relateren in zoveel mogelijk domeinen karakteriserend voor de ziekte van Huntington. Het hoofddoel van dit onderzoek is te bepalen welke combinatie van...

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

Samenvatting

ID

NL-OMON31178

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Track-HD

Aandoening

- Bewegingsstoornissen (incl. parkinsonisme)

Synoniemen aandoening

Ziekte van Huntington

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, High-Q Foundation; New York; VS

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Biomarkers, Europees netwerk, Longitudinaal, Ziekte van Huntington

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Alle variabelen worden meegenomen als uitkomstmaten: klinisch, MRI, genetisch en biomarkers om te beoordelen welke combinatie het meest sensitief is voor het detecteren van verandering in de ziekte van Huntington.

Secundaire uitkomstmaten

Afhankelijk van de bevindingen op primaire onderzoeksvariabelen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

De ziekte van Huntington (ZvH) is een neurodegeneratieve aandoening die 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 het 40e levensjaar: motorische afwijkingen, cognitieve achteruitgang en psychiatrische stoornissen. Het beloop is progressief en leidt tot functioneel disfunctioneren en uiteindelijk de dood binnen 10-30 jaar. Door middel van een DNA-test kunnen risicodragers zich predictief laten testen om te bepalen of ze al dan niet gendrager zijn lang vóór het begin van klachten en symptomen. Op dit moment is er nog geen therapie beschikbaar die de ziekte kan voorkomen of vertragen. Huntington diermodellen hebben belovende resultaten opgeleverd maar de voorspellende waarde ervan voor de mens is nog onbekend. Het integreren van fundamenteel en klinisch onderzoek is daarom noodzakelijk voor het uitvoeren van toekomstige klinische studies, bijvoorbeeld door biomarkers te ontdekken die het beloop van de ziekte in kaart brengen en door factoren te identificeren die van invloed zijn op het begin en progressie ervan.

Doel van het onderzoek

Track-HD is opgezet om de klinische kenmerken, genetische factoren en biomarkers aan elkaar te relateren in zoveel mogelijk domeinen karakteriserend voor de ziekte van Huntington. Het hoofddoel van dit onderzoek is te bepalen welke combinatie van instrumenten (klinische en biologische uitkomstmaten) het meest gevoelig zijn voor het detecteren van veranderingen in het begin en het beloop van de ziekte van

Huntington en om te gebruiken als uitkomstmaten in toekomstige neuroprotectieve trials.

Onderzoeksopzet

Alle deelnemers worden drie keer gezien: baseline, na 1 jaar en na twee jaar. Elk bezoek bevat de volgende onderzoeken: klinisch, (oculo)motorisch, neuropsychologisch, neuropsychiatrisch, MRI. Ook wordt er bloed afgenomen.

Inschatting van belasting en risico

Omdat Track-HD een observationele study is, zijn er geen risico's verbonden voor de deelnemers. De bezoeken duren ongeveer een dag en een belasting wordt tot een minimum gereduceerd door indien nodig, extra pauzes en helpen om te ontspannen tijdens bloedafname en MRI-scans.

Deelname aan het project leidt niet tot een rechtstreeks therapeutisch effect. Een potentieel voordeel is dat door deelname er sneller en betrouwbaarder onderzoek 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

Leids Universitair Medisch Centrum

Postbus 9600
2300 RC Leiden
NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Postbus 9600
2300 RC Leiden
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)

Het kunnen ondergaan van een MRI scan and bloedafname; De groepen deelnemers zijn:

1. Controlepersonen
 - a. Partner van een patiënt en niet risicodragers voor HD
 - b. Personen die niet-gendragers zijn voor de ziekte (na genetische test);
2. Presymptomatische gendragers
 - a. Genetische testuitslag: CAG repeat lengte ≥ 40 en
 - b. Score op pathologische ziektelast $[(CAG-35.5) \times \text{leeftijd}] > 250$ en
 - c. Afwezigheid van klinische motorische afwijkingen volgens de UHDRS 99;
3. Huntington patiënten in een vroeg stadium
 - a. Genetische testuitslag: CAG repeat lengte ≥ 40 en
 - b. Aanwezigheid van klinische motorische afwijkingen volgens de UHDRS 99 en
 - c. Shoulson en Fahn stadium 1 (TFC $> 9-13$) of 2 (TFC ≥ 7) afgenomen met de UHDRS 99 - capaciteit tot functioneren in het dagelijks leven

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Stadium 3 (TFC ≤ 6) of groter tijdens instroom
- Jonger dan 18 jaar
- Ouder dan 65 jaar
- Ernstige psychiatrische stoornis tijdens instroom
- Ernstige neurologische comorbiditeit
- Comorbiditeit van andere ernstige ziektes
- Niet kunnen meedoen aan MRI (bijv. claustrofobie of metalen implantaten)
- Niet bereid tot het geven van bloed
- Voorgeschiedenis van ernstig schedelletsel

- Drugs- en/of alcohol misbruik
- Ernstig letsel aan de handen waardoor schrijven of snelle reactiesnelheid worden beperkt
- Reeds deelnemend aan klinische medicatie trial

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	23-03-2008
Aantal proefpersonen:	90
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Leids Universitair Medisch Centrum (Leiden)

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	NL18769.058.07