

Spierrelaxatietijd als uitkomstmaat voor myotonie in patiënten met dystrofe en niet-dystrofe myotone syndromen; vrijwillige handgrip- versus perifere zenuwstimulatie myometrie

Gepubliceerd: 09-01-2012 Laatste bijgewerkt: 30-04-2024

In deze studie willen we onderzoeken of de spier-relaxatietijd (spier-RT), berekend uit krachtprofielen verkregen uit twee verschillende meetmethoden (1) vrijwillige handgrip- en (2) perifere zenuwstimulatie myometrie, een betrouwbare en...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving nog niet gestart
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON35579

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Spier-RT metingen in DMs en NDMs

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

erfelijke spierstijfheid, Myotonie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Myometrie, Myotonie, Spierrelaxatietijd, Uitkomstmaten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Uitkomstmaten zijn de gemiddelde spier-RT en intraclass-correlatie-coëfficiënt (ICC). Het verschil in de gemiddelde spier-RT tussen de groep gezonde proefpersonen en elk van de patiëntgroepen is een maat voor de betrouwbaarheid en robuustheid van het nemen van de spier-RT als uitkomstmaat voor myotonie. Deze betrouwbaarheid zal bepaald worden voor beide meetmethoden binnen de diverse patiëntengroepen. Om ook de reproduceerbaarheid van de metingen in beide meetmethoden te bepalen, zullen de intraclass-correlatie- coëfficiënten (ICCs) van de gemeten spier-RTs worden bepaald.

Secundaire uitkomstmaten

n.v.t.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Myotonie is een vertraagde relaxatie van de skeletspieren na vrijwillige contractie of externe mechanische stimulatie ten gevolge van overprikkelbaarheid van het spiermembraan [1, 2]. Myotonie is het kernsymptoom van dystrofe (DMs) en non-dystrofe myotone syndromen (NDMs). Voor patiënten met DMs en NDMs zijn er op dit moment geen evidence-based, veilige en effectieve therapieën. Dit jaar zal er gestart worden met een studie naar de veiligheid en effectiviteit van mexiletine in NDM-patiënten middels een multiële N-of-1

trial. Voor de behandeling van DMs zijn er eveneens plannen om een studie op te zetten met inspuiten van anti-sense oligonucleotiden om zo in te grijpen op het niveau van het mRNA-defect. Voorwaarde voor het uiteindelijk kunnen meten van de effectiviteit van beide behandelingen is dat er een betrouwbare, gevalideerde uitkomstmaat voor de kwantificatie van myotonie wordt ontwikkeld naast de reeds ontwikkelde subjectieve uitkomstmaten.

Doel van het onderzoek

In deze studie willen we onderzoeken of de spier-relaxatietijd (spier-RT), berekend uit krachtprofielen verkregen uit twee verschillende meetmethoden (1) vrijwillige handgrip- en (2) perifere zenuwstimulatie myometrie, een betrouwbare en reproduceerbare uitkomstmaat is voor de kwantificatie van myotonie in NDMs en DMs patiënten. Tevens zullen spier-RT data van de vrijwillige handgrip- en de perifere zenuwstimulatie myometrie met elkaar vergeleken worden om zo te bepalen welke meetmethode het beste in toekomstige medicatietrials zou kunnen worden toegepast.

Onderzoeksopzet

Observationeel onderzoek zonder invasieve metingen.

Inschatting van belasting en risico

Voordelen: In de toekomst kunnen resultaten van deze studie gebruikt worden voor therapiestudies. Nadelen: proefpersonen zijn ± 2 maal 85 minuten aan tijd kwijt aan dit onderzoek, ze zullen tweemaal 2 uur voor de meting moeten vasten en vanaf 3 dagen voor het onderzoek een kalium beperkt dieet moeten volgen. Risico's zijn minimaal, eventueel wat extra spierstijfheid en spierpijn. Verder kan de stimulatie tijdens de meting een ongemakkelijk gevoel geven.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Reinier postlaan 1
Postbus 9101, 6500 HB Nijmegen
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Sint Radboud

Reinier postlaan 1
Postbus 9101, 6500 HB Nijmegen
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 met een genetisch vastgestelde mutatie in het gen coderend voor het natrium- (SCN4A) of chloorkanaal (CLCN1) van de skeletspier of een genetisch vastgestelde mutatie in het DMPK-gen, met klinische aanwezigheid van hand (actie) myotonie en een leeftijd tussen de 18 en 65 jaar. Gezonde vrijwilligers tussen de 18 en 65 jaar. De groepen zullen op leeftijd en geslacht worden gematched.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Comorbiditeit in de vorm van neurologische of metabole aandoeningen die spieraansturing kunnen beïnvloeden. Het gebruik van medicatie die myotonie of spierkracht kan beïnvloeden (m.n. natriumkanalblokkers uit de cardiologie en neurologie kunnen tevens de natriumkanalen van de skeletspier verstoren). Comorbiditeit in de vorm van nier of hartaandoeningen die een kaliumbeperkt dieet niet toelaten. Tevens zullen zwangere vrouwen om deze reden niet worden geïnccludeerd. Het onvermogen om informed consent te tekenen. Het onvermogen om de hand en/of onderarm te plaatsen in de proefopstellingen.

Onderzoeksopzet

Opzet

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

Deelname

Nederland	
Status:	Werving nog niet gestart
(Verwachte) startdatum:	14-01-2012
Aantal proefpersonen:	0
Type:	Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-01-2012
Soort:	Eerste indiening
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	NL38883.091.11