

Hartfalen bij kinderen met een hartspierziekte. Wat zijn goede voorspellers van de uitkomst?

Gepubliceerd: 26-08-2010 Laatste bijgewerkt: 01-05-2024

Het doel van het onderzoek is om uitkomstmaten te bepalen, waarmee de uitkomst van hartspierziekte bij kinderen in tijdig(er) voorspeld kan worden. Een tweede doel is om uitkomstmaten vast te leggen die in toekomstige studies mede gebruikt kunnen...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Falen van de hartfunctie
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON39252

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Hartspierziekte bij kinderen

Aandoening

- Falen van de hartfunctie
- Hart- en vaataandoeningen, congenitaal

Synoniemen aandoening

cardiomyopathie, hartspierziekte

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Stichting Hartendroom

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: cardiomyopathie, hartfalen, kind, uitkomst

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Er wordt gezocht naar verschillen in klinische, beeldvormende (echo, MRI), electrocardiografische (ECG, Holter), laboratorium en kwaliteit van leven parameters tussen patiënten die een primair eindpunt bereiken (overlijden, harttransplantatie of behandeling met steunhart/ECMO) en patiënten die geen primair eindpunt bereiken.

De onderzochte parameters zijn gekozen op grond van studies bij volwassenen en/of studies/observaties/expert opinion voor kinderen.

Secundaire uitkomstmaten

Secundaire uitkomstvariabelen betreffen verschillen in bovenbeschreven parameters voor patiënten die op de wachtlijst voor harttransplantatie worden geplaatst, of worden opgenomen in het ziekenhuis voor verergeringen van het hartfalen, of worden opgenomen in het ziekenhuis voor iedere indicatie.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Ernstig hartfalen bij kinderen wordt vaak veroorzaakt door een hartspierziekte, waarbij de pompfunctie van het hart verminderd is. Hartspierziekten bij kinderen komen niet zo vaak voor, maar de uitkomst ervan is slecht. In het eerste jaar van de ziekte overleeft slechts 2/3 van de kinderen zonder harttransplantatie en na 5 jaar slechts de helft. Deze hartspierziekten vormen dan ook de belangrijkste reden om harttransplantaties bij kinderen te verrichten.

De behandeling van deze zieke groep kinderen is er op gericht om de hartfunctie

te verbeteren en harttransplantatie te voorkomen. Hierbij doen zich een aantal problemen voor. Ten eerste kunnen we in het begin of tijdens het verloop van de ziekte niet goed voorspellen hoe de uitkomst zal zijn. Hierdoor is het moeilijk een goede keus te maken tussen behandeling die gericht op verbetering van de hartfunctie (met medicijnen) of harttransplantatie. Meestal wordt pas laat in de ziekte voor harttransplantatie gekozen, maar dan is de mogelijkheid om op een geschikt donorhart te wachten maar beperkt.

Bij de behandeling met medicijnen maken we gebruik van de ervaring die bij volwassenen is opgedaan. We weten echter niet of die medicijnen bij kinderen wel net zo effectief zijn en welke doseringen we zouden moeten gebruiken.

Het is moeilijk om studies te verrichten bij kinderen om deze vragen te beantwoorden, onder andere omdat geschikte uitkomstmaten ontbreken.

Het doel van de hier beschreven studie is om een aantal uitkomstmaten vast te leggen. We hopen hierdoor de uitkomst bij kinderen met een hartspierziekte beter te kunnen voorspellen. Bovendien hopen we het effect van verschillende behandelingen om de hartfunctie te verbeteren beter te kunnen meten.

De kinderen die meedoen aan de studie, worden gedurende drie jaar intensief gecontroleerd. Hierbij worden gestandaardiseerde metingen verricht, waarvan is aangetoond dat die van belang zijn bij volwassenen of waarvan verondersteld wordt dat die bij kinderen belangrijk (zouden kunnen) zijn. Het betreft onder andere metingen van de klinische conditie uitgedrukt in een voor kinderen ontwikkelde hartfalenscore, meting van kwaliteit van leven, groeiparameters en energiebehoefte, echocardiografische metingen en metingen met MRI, inspanningsvermogen en maximale zuurstofopname. Al deze parameters worden longitudinaal verzameld, omdat we veronderstellen dat het beloop in individuele patiënten belangrijke prognostische informatie bevat. Vanzelfsprekend wordt gedurende de follow-up tijd de behandeling naar onze beste inzichten voortgezet.

Na 3 jaar wordt gekeken naar de uitkomst en wordt onderzocht welke factoren een verslechtering of verbetering konden voorspellen. Aan de hand van die factoren kunnen we dan, in de toekomst, de uitkomst van kinderen met een hartspierziekte mogelijk beter voorspellen. Bovendien kunnen we deze factoren gebruiken om het effect van verschillende behandelingen te onderzoeken. We verwachten dat de resultaten van dit onderzoek snel na het afronden van de studie gebruikt kunnen worden in de behandeling.

De hypothese die getest wordt is dat longitudinale follow-up van kinderen met hartfalen veroorzaakt door een gedilateerde cardiomyopathie prognostische factoren bevat die de uitkomst kunnen voorspellen, daarbij bevat de longitudinale informatie van individuele patiënten belangrijke prognostische informatie.

Doel van het onderzoek

Het doel van het onderzoek is om uitkomstmaten te bepalen, waarmee de uitkomst van hartspierziekte bij kinderen in tijdig(er) voorspeld kan worden. Een tweede doel is om uitkomstmaten vast te leggen die in toekomstige studies mede

gebruikt kunnen worden als eindpunt.

Onderzoeksopzet

Prospectief, longitudinaal, observationeel

Inschatting van belasting en risico

Het risico van participeren in de studie is nihil. Het risico dat patiënten lopen wordt bepaald door hun onderliggend lijden. Dit risico hoog, voor patiënten met cardiomyopathie en systolische dysfuctie is de kans op transplantatievrije overleving na 1 en 5 jaar respectievelijk 70 % en 50 %.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr Molewaterplein 60
Rotterdam 3000 CB
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Dr Molewaterplein 60
Rotterdam 3000 CB
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)

Adolescenten (16-17 jaar)

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

kinderen met gedilateerde cardiomyopathie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

niet kunnen meewerken aan het onderzoeksprotocol (dwz verstandelijke handicap)

Voor specifieke procedures die beschreven zijn binnen het onderzoek kunnen algemeen aanvaarde contra-indicaties bestaan die dat onderdeel onmogelijk maken. Specifiek valt hierbij te denken aan bekende contra-indicaties voor MRI onderzoek (MRI-incompatibele materialen in het lichaam) en contrasttoediening (beperkte nierfunctie)

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 01-10-2010

Aantal proefpersonen: 120

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 26-08-2010

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 12-04-2011

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 03-09-2012

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 17-01-2013

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

Goedgekeurd WMO

Datum: 25-07-2013

Soort: Amendement

Toetsingscommissie: METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)

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
Ander register	NL30649.078.10
CCMO	NL32651.078.10