

Preventie van nier- en blaasschade bij kinderen met spina bifida door middel van vroegtijdige injecties met Botulinum-Toxin-A (Botox): een pilotstudie.

Gepubliceerd: 06-01-2014 Laatste bijgewerkt: 24-04-2024

- Kunnen vroegtijdige Botox-injecties in de blaas bij meningomyelocèle (MMC) patiënten verdere achteruitgang van de blaas- en nierfunctie voorkomen? - Kunnen vroegtijdige Botox-injecties in de blaas bij MMC patiënten de noodzaak van een grote...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Neurologische aandoeningen, congenitaal
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON40616

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Vroegtijdige Botox bij SB patiënten.

Aandoening

- Neurologische aandoeningen, congenitaal
- Neurologische aandoeningen NEG
- Blaas- en blaashalsaandoeningen (excl. stenen)

Synoniemen aandoening

Neurogene blaasfunctiestoornis bij spina bifida patiënten, spastische blaas bij patiënten met spina bifida.

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Overige ondersteuning: Jaap Schouten Foundation

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: nier- en blaasschade, preventie, spina bifida, vroegtijdige botox

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Eindvullingsdruk en capaciteit van de blaas (vastgesteld door middel van een urodynamisch onderzoek) na 5 jaar follow-up.

Secundaire uitkomstmaten

- Klinische parameters:

- * aantal urineweginfecties
- * frequentie van intermitterende katheterisatie
- * blaasvolumen (bij intermitterende katheterisatie)

- Urodynamische parameters:

- * blaascapaciteit
- * blaasoveractiviteiten
- * compliantie van de blaas

- Aantal en aard van de operatieve ingrepen aan de urinewegen

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Kinderen met een ernstige vorm van spina bifida hebben vrijwel altijd forse blaasfunctiestoornissen met mogelijk nierschade tot gevolg. Op basis van (recent) ontdekte eigenschappen van botulinum toxine A is het aannemelijk dat

vroegtijdige toediening van Botox in de blaas bij kinderen met spina bifida een protectief effect heeft op de blaasfunctie. Dit kan resulteren in minder operatieve ingrepen en minder incontinentie op latere leeftijd, waardoor de kwaliteit van leven bij deze kinderen ongetwijfeld zal verbeteren. Ook kan de (verdere) achteruitgang van de nierfunctie hierdoor worden vertraagd.

Doel van het onderzoek

- Kunnen vroegtijdige Botox-injecties in de blaas bij meningomyelocèle (MMC) patiënten verdere achteruitgang van de blaas- en nierfunctie voorkomen?
- Kunnen vroegtijdige Botox-injecties in de blaas bij MMC patiënten de noodzaak van een grote operatieve ingreep (ileocystoplastiek met appendicovesicostoma) verminderen?

Onderzoeksopzet

Open, gecontroleerde en prospectieve pilotstudie.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Botulinum toxine A wordt op de leeftijd van circa 5 maanden tijdens een kortdurende narcose (10 minuten) in de blaas geïnjecteerd. Deze injecties worden gedurende het onderzoek om de 9 maanden herhaald.

Inschatting van belasting en risico

Met doseringen van < 10 U/kg zijn in de literatuur nauwelijks bijwerkingen beschreven. Een relatief vaak voorkomende bijwerking bij *niet-neurogene* volwassenen is urineretentie. In het geval van urineretentie moet de patiënt tijdelijk (circa 4 weken) gekatheteriseerd worden om de blaas te ledigen. De patiënten in deze studie worden echter al vanaf de geboorte gekatheteriseerd, zodat een eventuele temporaire retentie niet relevant is. Een andere genoemde bijwerking is een urineweginfectie kort na de injectie. Deze bijwerking is eerder het gevolg van de noodzakelijke cystoscopie dan van de Botox zelf. Bovendien kan het risico op een urineweginfectie sterk verminderd worden door het toedienen van peri-operatieve antibiotica. Volgens de literatuur is er geen bewijs dat herhaaldelijke narcoses een negatieve invloed op de patiënt hebben. Op basis van de hypothese kunnen ernstige functionele beperkingen voorkomen worden. Dit weegt waarschijnlijk op tegen de nog onduidelijke effecten van anesthetica bij kinderen.

Contactpersonen

Publiek

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Wetenschappelijk

Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam

Wytemaweg 80
Rotterdam 3015 CN
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

De studiegroep bestaat uit nieuwgeboren kinderen met MMC waarvoor de standaardbehandeling (CIC + anticholinergica) werd gestart. De minimale leeftijd voor inclusie is 3 maanden. Dit in verband met de vereiste minimale diameter van de urethra voor cystoscopie.;De historische controlegroep bestaat uit MMC patiënten die niet zijn behandeld met Botox en die zijn geboren tussen 1998 en 2008.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

De exclusiecriteria voor de studiegroep zijn:

- Patiënten met problemen met slikken of ademhaling waarvoor medische behandeling nodig is of was.
- Spierziekten zoals myasthenia gravis, amyotrofe laterale sclerose of het Eaton-Lambertsyndroom.; Voor de historische controlegroep zal worden gecontroleerd of (de ouders van) de patiënten bezwaar hebben gemaakt tegen het gebruik van gegevens voor medisch wetenschappelijk onderzoek.

Onderzoeksopzet

Opzet

Fase onderzoek:	4
Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Actieve controle groep
Doel:	Preventie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestopt
(Verwachte) startdatum:	15-10-2014
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Soort:	Geneesmiddel
Merknaam:	BOTOX
Generieke naam:	Botulinum toxine type A
Registratie:	Geregistreerd voor een andere indicatie/dosering

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum:	06-01-2014
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Erasmus MC, Universitair Medisch Centrum Rotterdam (Rotterdam)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-04-2014
Soort:	Eerste indiening
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
EudraCT	EUCTR2013-003842-18-NL
CCMO	NL46292.078.13