

Eet- en slikproblemen bij Spinale Musculaire Atrofie (SMA). 'Eet SMAkelijk' Een cross-sectioneel Diagnostische Cohort studie naar kauw- en slikproblemen bij Nederlandse patiënten met spinale musculaire atrofie

Gepubliceerd: 30-05-2017 Laatste bijgewerkt: 12-04-2024

Het onderzoeken van de kenmerken en consequenties van eet- en slikproblemen bij patiënten met SMA type II, IIIa, IIIb, IV, en het detecteren van voorspellers van deze problemen door middel van instrumentele en klinische slikonderzoeken en een...

Ethische beoordeling	Afgewezen
Status	Zal niet starten
Type aandoening	Neuromusculaire aandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON45438

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Eet- en slikproblemen bij Spinale Musculaire Atrofie (SMA)

Aandoening

- Neuromusculaire aandoeningen

Synoniemen aandoening

Dysfagie, Slikproblemen

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: Prinses beatrixfonds

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Dysfagie, Spinale Musculaire Atrofie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

a. Rontgenslikonderzoek: de eet- en slikproblemen worden onderzocht in de orale fase, de faryngeale fase en de oesophageale fase van het slikken, met de primaire endpoints:

Vorming van voedselbrok (ja/nee)

Gemiddelde duur van de orale transportfase;

Optreden van Piece meal deglutition (ja/nee)

Laryngeale penetratie of aspiratie (8-puntschaal Rosenbek)

Residu na de slik (6 punt schaal Rommel)

Verminderde opening van de bovenste slokdarm sfincter (ja/nee)

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen de video van het rontgenslikonderzoek beoordelen (15% van het totaal aantal willekeurig gekozen slikvideo's) en de data zullen worden vergeleken, met als doel het bepalen van de interbetrouwbaarheidsovereenstemming

b. Sliksneltest, ml/sec

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen deze test scoren (15% van de totale hoeveelheid afgenomen tests, willekeurig gekozen) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

c. Slikvolume test: max ml water geslikt in 1 slik.

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen deze test scoren (15% van de totale hoeveelheid afgenomen tests, willekeurig gekozen) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

d. Kauwtest: Test for Observation of Mastication and Swallowing Solids (TOMASS), aantal happen; kauw cycli, aantal slikken, totale tijd.

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen deze test scoren (15% van de totale hoeveelheid afgenomen tests, willekeurig gekozen) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

e. Zes minuten kauwtest (uithoudingsvermogen) (6MMT), uitkomstmaat: totaal aantal kauwcycli en het verschil tussen minuut 1 (M1) en minuut 6 (M2). Data worden vergeleken met de normatieve data, in z-scores (van den Engel-Hoek et al, 2017).

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen deze test scoren (15% van de totale hoeveelheid, willekeurig gekozen) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

f. Actieve maximale mond opening (aMMO), afstand tussen de bovenste en onderste snijtanden, inclusief de overbeet in millimeters.

g. Spierecho van de orale- en kauwspieren. uitkomstmaten: echogeniciteit en dikte van de spieren (kwantitatief, vergelijking met normale waarden, in z-scores); Heckmatt -score (kwalitatief, score 1 = normaal * score 4 = ernstig verhoogde echogeniciteit met afwezige bot reflectie; aanwezigheid van fasciculaties (ja / nee) (Heckmatt, 1982).

Twee onafhankelijke beoordelaars zullen de beelden scoren (kwantitatief en kwalitatief) (15% van de totale hoeveelheid, willekeurig gekozen beelden) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

h. LINMA(-k), ingevuld door patienten met SMA (zoals gebruikt in de prevalentiestudie, METC protocol no. 09-307), amendment 11: *Slikfunctie bij SMA*) in termen van 'geen problemen'; 'kauwproblemen'; 'slikproblemen' en 'kauw/slikproblemen'.

i. Oraal motorische vaardigheden: Een kwalitatieve beschrijving van de motorische vaardigheden op basis van het Radboud Oraal Onderzoek (kwalitatieve scores voor bewegingen van gezicht, lippen, tong in termen van: 0 = afwijkend of onmogelijk uit te voeren; 1 = minimaal afwijkend / twijfel; 3 = normaal. Twee onafhankelijke beoordelaars zullen het onderzoek scoren (15% van de totale hoeveelheid afgenomen onderzoeken, willekeurig gekozen) en de data zullen worden vergeleken, met als doel om de interbetrouwbaarheidsovereenstemming te berekenen.

Secundaire uitkomstmaten

Niet van Toepassing

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Spinale Musculaire Atrofie (SMA) is een autosomaal recessieve ziekte van de motorische voorhoorn cel, gekarakteriseerd door proximale en distale spierzwakte (Lefebvre et al., 1995). Betrokkenheid van de motorische kernen van het onderste en middelste deel van de hersenstam komt relatief vaak voor en zorgt voor bulbaire spierzwakte. Dit is waarschijnlijk een belangrijke oorzaak van eet- en slikproblemen.

Eet- en slikproblemen kunnen leiden tot complicaties, zoals verstikking (Cichero et al., 2013), aspiratie en luchtweginfecties.

Verscheidene studies hebben de frequentie van eet- en slikproblemen onderzocht bij patiënten met SMA type II en III, echter voornamelijk door middel van vragenlijsten (Chen et al., 2012; Messina et al., 2008) en niet op basis van de gouden standaard voor dysfagie: het rontgen slikonderzoek. Hoewel het niet onderzocht is of vragenlijsten de frequentie van eet- en slikproblemen onderschatten, lijkt dit voor de hand liggend.

Er zijn geen studies die de bulbaire complicaties bij SMA systematisch hebben onderzocht en de huidige adviezen zijn gebaseerd op slechts een kleine patiëntgroep (L van den Engel-Hoek et al., 2009).

In deze studie wordt de achtergrond van eet- en slikproblemen bij SMA

onderzocht met de gouden standaard röntgenslikonderzoek, een reeks van klinische sliktests en een vragenlijst.

Doel van het onderzoek

Het onderzoeken van de kenmerken en consequenties van eet- en slikproblemen bij patiënten met SMA type II, IIIa, IIIb, IV, en het detecteren van voorspellers van deze problemen door middel van instrumentele en klinische slikonderzoeken en een vragenlijst (speciaal gericht is op slikproblemen bij neuromusculaire aandoeningen), met als doel het vroegtijdig herkennen van eet- en slikproblemen en het ontwikkelen van symptomatische behandelingsstrategieën.

Secundair doel is het samenstellen van een pakket slikonderzoeken dat sensitief is om eet- en slikproblemen bij SMA te detecteren.

Onderzoeksopzet

Het gaat om een cross-sectionele diagnostische cohort studie. Dysfagie zal worden onderzocht met de gouden standaard, het röntgenslikonderzoek en klinische sliktests, in een grote groep patiënten met SMA type II, IIIa, IIIb, en IV (N= 50).

Inclusie van patiënten zal zijn van juni 2017 tot juni 2018. De studie zal worden uitgevoerd in het UMCU.

Patiënten (12 jaar en ouder) van de nationale database *Spinal muscular atrophy, SMN protein and genetics* (dossier no. NL29692.041.09, METC protocol no. 09-307), wordt geïnformeerd over de studie en gevraagd te overwegen deel te nemen aan de studie. Indien zij toestemmen, dan wordt hen gevraagd naar het ziekenhuis te komen voor een halve dag. Daar vullen zij een vragenlijst in (LINMA(-k) met 40 vragen, speciaal ontwikkeld voor patiënten met neuromusculaire aandoeningen) en ondergaan zij een instrumenteel slikonderzoek (röntgenslikonderzoek) en verschillende klinische slikonderzoeken.

Inschatting van belasting en risico

De belasting voor de patient is bij deze studie relatief klein en het risico kan worden geclassificeerd als te verwaarlozen klein. Er is slechts 1 bezoek aan het ziekenhuis nodig. Dit bezoek duurt ongeveer 3 uur, inclusief pauzes voor koffie/thee. De vragenlijst en de sliktests worden gevolgd door een röntgenslikonderzoek. Patiënten profiteren van de studie, omdat zij over de uitslag van de sliktests zullen worden geïnformeerd en indien van toepassing zullen adviezen krijgen voor aanpassingen of mogelijke behandeling.

Wat betreft het röntgenslikonderzoek zal de patient worden blootgesteld aan straling gedurende een beperkt aantal slikken (maximaal 15), om ervoor te zorgen dat de stralingsbelasting zo klein mogelijk is. Patiënten krijgen de

mogelijkheid om de meting te weigeren.

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1) een klinische diagnose van SMA type II, IIIa, IIIb, IV, en een genetisch bevestigde homozygote SMAN1 deletie

- 2) mondeling en geschreven informed consent bij * 18 jaar
- 3) gegeven informed consent door de ouders of verzorgers die het gezag hebben over het kind, in het geval het patienten betreft van 12 - 18 jaar.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- 1) Ernstige vorm van SMA, gedefinieerd als SMA type 0 en I
- 2) Onmogelijkheid om het ziekenhuis te bezoeken
- 3) Volledige sondevoeding

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, met invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland

Status: Zal niet starten

Aantal proefpersonen: 50

Type: Verwachte startdatum

Ethische beoordeling

Afgewezen

Datum: 30-05-2017

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Universitair Medisch Centrum Utrecht (Utrecht)

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	NL61348.041.17