

IgM (anti-MAG) perifere neuropathie studie: Een studie naar het ziektebeloop van MGUS polyneuropathie (IMAGiNe studie)

Gepubliceerd: 08-06-2016 Laatste bijgewerkt: 17-04-2024

De belangrijkste doelstelling is om in detail de variatie in klinische subtypes, ziektebeloop, behandelrespons, antilichaamtiter en klinisch beeld van monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie vast te leggen. De werkgroep beoogt de...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestopt
Type aandoening	Plasmacelneoplasmata
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON45839

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

IMAGiNe studie

Aandoening

- Plasmacelneoplasmata
- Auto-immuunziekten
- Perifere neuropathieën

Synoniemen aandoening

IgM monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie, zenuwaandoening

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Universitair Medisch Centrum Utrecht

Overige ondersteuning: GBS/CIDP Foundation International

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: IgM anti-MAG, MGUS, neuropathie, uitkomstmaten

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het verzamelen van gegevens is gebaseerd op de formats die zijn gebruikt in de Dutch ALS en IGOS studies. De volgende parameters zullen worden onderzocht: spierzwakte ((RT)- MRC somscore), sensibiliteit ((RT)- gemodificeerde ISS), functiebeperkingen (MGUSP-RODS), ataxie (MICARS/SARA), kwaliteit van leven (EuroQol EQ-5D Gezondheidsvragenlijst), en pijn (Pain-Intensity Numerical Rating Scale).

Secundaire uitkomstmaten

-

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

IgM monoklonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie is een langzaam progressieve ziekte met verschillende symptomen variërend van milde gevoelsstoornissen in de voeten en milde disbalans tot ernstige neuropathische pijn en sensorische en motorische stoornissen. Aangezien onderzoek naar het effect van medicatie binnen monoklonale gammopathie zonder bekende betekenis (MGUS) geassocieerde polyneuropathie in alle studies negatieve resultaten opleverde, moeten allereerst diverse vragen worden opgelost voordat andere behandelingen kunnen worden onderzocht. Gesuggereerd wordt dat potentiële bijdragende factoren aan de negatieve resultaten zijn: herhaald gebruik van suboptimale uitkomstmaten, kleine onderzoekspopulaties en daardoor lage aantallen van de behandelde patiënten, het indolente ziekteverloop waardoor een

langere follow-up periode noodzakelijk is om relevante wijzigingen vast te leggen, of de mogelijkheid dat de toegediende behandelingen niet agressief genoeg waren. Tot nu toe is er geen internationale consensus over hoe patiënten met MGUS geassocieerde polyneuropathie het best klinisch beoordeeld en behandeld kunnen worden. De IMAGiNe studie zal leiden tot een unieke verzameling van prospectief verzamelde en sterk gestandaardiseerde klinische gegevens en een biobank van een grote populatie van goed gedefinieerde patiënten met monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie. Deze gegevens worden gebruikt om de diagnostische criteria te optimaliseren van mogelijke subtypes, om biomarkers te identificeren die ziekteactiviteit en reactie op behandeling voorspellen, en voor het voorspellen van de kans op behandelingsrespons en prognose bij individuele patiënten.

Doel van het onderzoek

De belangrijkste doelstelling is om in detail de variatie in klinische subtypes, ziektebeloop, behandelrespons, antilichaamtiter en klinisch beeld van monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie vast te leggen. De werkgroep beoogt de klinische en biologische determinanten en voorspellers van deze variatie in subtypes, ziekteactiviteit, behandelingsrespons en uitkomsten te definiëren. Om dit te bereiken zal een MGUS polyneuropathie-specifieke met behulp van Rasch analyses gebouwde algehele functiebeperkingsschaal, de MGUS-RODS, worden samengesteld. Deze vragenlijst zal moeten voldoen aan alle moderne klinimetrische eisen, waaronder cross-culturele validiteit.

Onderzoeksopzet

Internationaal, multi-centrum, prospectief, observationele cohortstudie met een duur van 3 jaar (beoordelingen bij 0/6/12/24/36 maanden, plus extra bezoeken indien patiënt tijdens de onderzoeksperiode het ziekenhuis extra bezoekt vanwege de monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie). De coördinerende centra zullen zijn Universitair Medisch Centrum Utrecht en Maastricht Universitair Medisch Centrum+. Andere deelnemende centra zijn gelegen in Londen, Parijs, Milaan, Barcelona en diverse centra in de Verenigde Staten.

Inschatting van belasting en risico

Voor start van de studie worden gegevens verzameld met betrekking tot : (1) de belangrijkste klinische kenmerken en de resultaten van routine diagnostiek, (2) de patiëntgeschiedenis, demografie en de huidige klinische situatie bepaald door de klachten van patiënten, neurologische stoornissen en diverse uitkomstmaten, (3) behandelingen in het verleden ondergaan en de huidige behandeling bij aanvang van de studie en de klinische respons op de behandelingen, (4) beenmergbiopsie verzameld bij diagnose, indien beschikbaar. Gedurende het onderzoek zullen patiënten in totaal vijf keer het ziekenhuis

bezoeken. Vier van deze bezoeken vinden plaats in combinatie met de reguliere jaarlijkse afspraak (t = 0, t = 12, t=24, t = 36 maanden). Tijdens alle bezoeken zal een neurologisch onderzoek worden uitgevoerd met tevens van het bepalen van de (RT) -MRC som score en (RT) -gemodificeerde ISS, en patiënten zullen de MGUS-RODS invullen. Patiënten krijgen jaarlijks routine bloedonderzoeken, tijdens deze bloedafnames zal er extra bloed worden afgenomen (op t=0, t=12 en t=24 maanden) om in de biobank op te slaan, eenmalig zal hieruit DNA worden bepaald (t=0 maanden).

Contactpersonen

Publiek

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3508 GA
NL

Wetenschappelijk

Universitair Medisch Centrum Utrecht

Heidelberglaan 100
Utrecht 3508 GA
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)

- voldoen aan de internationale criteria voor de diagnose IgM monoclonale gammopathie en perifere neuropathie
- leeftijd 18 jaar of ouder
- geschreven informed consent

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- bijkomende ziekten die mogelijk invloed hebben op de perifere zenuwfunctie en het fysieke functioneren, zoals diabetes, nierinsufficiëntie, behandeling met chemotherapie in het verleden voor andere aandoeningen dan de IgM monoclonale gammopathy geassocieerde perifere neuropathie, alcoholabuses (meer dan 5 eenheden per dag)
- het hebben van een ernstige, actieve maligniteit met een slechte prognose, afgezien van de monoclonale gammopathie geassocieerde polyneuropathie, waarvoor behandeling nodig is
- zwangerschap
- het gebruik van medicatie die invloed kunnen hebben op de perifere zenuwfunctie.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Algemeen wetenschappelijk

Deelname

Nederland

Status: Werving gestopt

(Verwachte) startdatum: 31-08-2016

Aantal proefpersonen: 100

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-06-2016
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-01-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	18-10-2017
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec

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	NL56244.041.16

Resultaten

Einddatum onderzoek:	05-05-2022
Totaal aantal deelnemers:	103