

Gewrichtsdistractie als behandeling voor hemofilie artropathie van de enkel: klinische en structurele effectiviteit, een pilot studie.

Gepubliceerd: 19-06-2013 Laatste bijgewerkt: 07-02-2025

Deze studie is opgezet om prospectieve data te verzamelen over a) de klinische effectiviteit, b) structurele weefselveranderingen, en c) korte termijn kosten van distractie van de enkel in 10 patiënten met hemofilie artropathie van de enkel die drie...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON46992

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

Gewrichtsdistractie voor hemofilie artropathie van de enkel

Aandoening

- Chromosoomafwijkingen, genwijzigingen en genvarianten
- Gewrichtsaandoeningen

Synoniemen aandoening

bloederziekte, hemofilie

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Arthropathie, Distractie, Enkel, Hemofilie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

De primaire uitkomstmaat is de verandering 1 jaar na distractie in de Ankle Osteoarthritis Scale, een gevalideerde vragenlijst voor enkelklachten op basis van degeneratie.

Secundaire uitkomstmaten

- A) Andere klinische parameters - verbetering in functioneren gemeten middels vragenlijsten en functionele testen
- B) Weefselveranderingen - gemeten middels radiologie (rontgen en MRI) en de veranderingen in biochemische markers van kraakbeen en botturnover
- C) Kosten van de behandeling - vragenlijst over werk en zorggebruik, stolfactorgebruik
- D) Kwaliteit van leven - EQ-5D, ook tijdens de behandeling om de zwaarte van de behandeling in kaart te brengen.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

In de genetische stollingsstoornis hemofilie is de meest voorkomende complicatie gewrichtsschade door herhaalde gewrichtsbloedingen. Naast de knieën en de ellebogen zijn de enkles het meest aangedaan. Tegenwoordig is in jonge patiënten de enkel het meest aangedane gewricht. Operatief ingrijpen zoals artrodese (het permanent vastzetten van het gewricht) is vaak noodzakelijk. Echter, doordat de slijtage van het gewricht al op jonge leeftijd

begint, zijn veel patiënten die in aanmerking komen voor een operatie nog jong (<55 jaar) en daarom wordt de operatie zo lang mogelijk uitgesteld. In ernstige artrose van de enkel (een andere vorm van gewrichtsdegeneratie) blijkt gewrichtsdistractie een goed chirurgisch alternatief te zijn waarmee het vastzetten van de enkel vele jaren kan worden uitgesteld. Deze behandeling kan ook effectief zijn voor hemofilie arthropathie van de enkel, met het voordeel dat het gewricht behouden blijft. Recent zijn er drie casus beschreven waarin in retrospect 2, 3 en 4 jaar na de distractie goede klinische en structurele effectiviteit werd aangetoond.

Doel van het onderzoek

Deze studie is opgezet om prospectieve data te verzamelen over a) de klinische effectiviteit, b) structurele weefselveranderingen, en c) korte termijn kosten van distractie van de enkel in 10 patiënten met hemofilie arthropathie van de enkel die drie jaar gevolgd worden na de distractie.

Onderzoeksopzet

De studie is een prospectieve interventie pilot studie met tien jaar follow up. Hemofilie patiënten met ernstige klachten van enkelarthropathie in het bovenste spronggewricht met onvoldoende respons op pijnstilling en conservatieve maatregelen en met functionele beperkingen hierdoor, worden geïncludeerd. Er wordt tien weken distractie van de enkel uitgevoerd. Veranderingen in de klachten worden geevalueerd op 6 en 12 maanden na de operatie en daarna jaarlijks tot drie jaar postoperatief, gevolgd door follow up op 6 en 10 jaar.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Alle tien patiënten die geïncludeerd worden zullen gewrichtsdistractie van de enkel ondergaan gedurende tien weken. Dit wordt gedaan middels aanbrengen van een extern frame waarmee 5mm distractie wordt bewerkstelligd.

Inschatting van belasting en risico

Er is een direct voordeel voor de patiënten aangezien er goede klinische effectiviteit wordt verwacht gebaseerd op de drie casus in hemofilie en de ervaring bij patiënten met enkel artrose. Behoud van het gewricht voor jaren, daarmee het uitstellen van het vastzetten van het gewricht, wordt verwacht. Voor deze studie zullen patiënten de polikliniek bezoeken met een vergelijkbare frequentie als na het vastzetten van de enkel. Er zal gevraagd worden tweemaal bij baseline, en daarna postoperatief na 6 maanden, 1, 2, 3, 6 en 10 jaar vragenlijsten in te vullen en lichamelijk onderzoek te ondergaan zoals in standaard klinische zorg. Tevens zal 3 en 10 jaar postoperatief een MRI worden gemaakt, enkel voor studiedoeleinden. Bovendien wordt er op zes momenten 10ml bloed en 5ml urine verzameld.

De risico's verbonden met dit onderzoek worden ingeschat als minimaal op basis van de ervaring met de drie eerder genoemde casus. Aanbrengen van het distractieframe gebeurt onder algehele anesthesie en na toediening van extra stolfactorconcentraat. Er is een risico op bloeding of infectie van het pengat, maar beide kunnen effectief behandeld worden met respectievelijk stolfactorconcentraat of antibiotica. Na tien weken zal het distractieframe verwijderd worden, wat opnieuw anesthesie en toediening van stolfactorconcentraat vergt.

Bovendien is er een verwaarloosbaar risico op basis van de rontgenfoto's en een klein risico samenhangend met de bloedafnames, maar deze zullen zoveel mogelijk gecombineerd worden met reguliere bloedafnames.

De uiteindelijke uitkomst van de studie zal bijdragen aan het verder ontwikkelen en positioneren van gewrichtsdistractie van de enkel in de behandeling van hemofilie arthropathie van de enkel, wat van belang kan zijn voor patiënten in de toekomst en het voor hen mogelijk kan maken optimaal aan de maatschappij deel te nemen.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Heidelberglaan 100
Utrecht 3584 CX
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)

Patienten met hemofilie A of B en ernstige klachten van enkel arthropathie in het bovenste spronggewricht, onvoldoende reagerend op pijnstilling en conservatieve behandeling, en leidend tot functionele beperkingen.
Leeftijd ≥ 18 jaar en ≤ 55 jaar

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Contra-indicaties voor chirurgie in het algemeen, op basis van de huidige klinische protocollen
Klachten van de enkel op basis van met name arthropathie in het onderste spronggewricht.
Psychische bezwaren die het onmogelijk maken 10 weken een distractieframe te dragen of moeilijk te instrueren patiënten.
Contra-indicaties voor MRI onderzoek op basis van de huidige klinische protocollen
Bot-op-bot contact in het gewricht (geen gewrichtsspleet zichtbaar op X-enkel)
Septische artritis of reumatoïde artritis in de aangedane enkel, op dit moment of in het verleden

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Interventie onderzoek

Blindering: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Behandeling / therapie

Deelname

Nederland

Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	26-08-2013
Aantal proefpersonen:	10
Type:	Werkelijke startdatum

In onderzoek gebruikte producten en hulpmiddelen

Generieke naam:	Ilizarov distractie frame
Registratie:	Geregistreerd voor ander gebruik dan zoals toegepast in onderzoek

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	19-06-2013
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	29-07-2015
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC NedMec
Goedgekeurd WMO	
Datum:	11-01-2019
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

CCMO

ID

NL44229.041.13