

Perorale endoscopische myotomie (POEM) vs endoscopische ballon dilatatie (EBD) voor de behandeling van achalasie bij kinderen

Gepubliceerd: 21-06-2021 Laatste bijgewerkt: 10-05-2025

Het evalueren van de effectiviteit en veiligheid van de POEM ten opzichte van pneumodilatatie, bij therapie naïve achalasie patiënten. Dit wordt gedefinieerd als succesvol verbeteren van de symptomen met een Eckhardt score van 3 of minder op 12...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Maagdarmselstel motiliteit en defecatieaandoeningen
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON55648

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PEDPOEM

Aandoening

- Maagdarmselstel motiliteit en defecatieaandoeningen

Synoniemen aandoening

Achalasie, Motiliteitsstoornis/bewegingsstoornis van de slokdarm

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Academisch Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Ministerie van OC&W, Stichting kindermotiliteit

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Achalasie bij kinderen, Endoscopisch, Myotomie, Pneumodilatatie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Het primaire eindpunt is de noodzaak tot herbehandeling (i.e. pneumodilatatie, laparoscopische Hellerse myotomie, POEM of botox injecties), vanwege terugkeer van symptomen (Eckardt score > 3) en oesofageale stase op barium slikfoto en/of hoge resolutie manometrie. Het primaire eindpunt wordt na 12 maanden gemeten.

Secundaire uitkomstmaten

- Kwaliteit van leven en achalasie gespecificeerde kwaliteit van leven
- Stase in de oesofagus vastgesteld middels een barium slikfoto
- Reflux symptomen, reflux oesofagitis en overmatige zuurexpositie in de oesofagus
- Oesofageale functie, vastgesteld middels hoge resolutie manometrie
- Complicaties van de behandeling gedefinieerd als alle ongewenste gebeurtenissen die volgen op de behandeling en/of secundair zijn aan de behandeling. Complicaties die resulteren in > 24 uur ziekenhuisopname of een verlenging van een geplande ziekehuisopname, opname op een medium of intensive care afdeling, additionele endoscopische procedures, bloedtransfusie of overlijden worden als "ernstig" geclassificeerd . Alle andere complicaties worden als "mild" geclassificeerd.
- Re-interventie middels endoscopische of chirurgische procedure na de initiële behandel sessie

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Achalasie is een zeldzame motiliteitsstoornis van de oesofagus die zich kenmerkt door aperistaltiek van de oesofagus en incomplete relaxatie van de onderste oesofagusfincter. Achalasie wordt veroorzaakt door progressieve destructie en degeneratie van de neuronen in de myenterische plexus. Als gevolg hiervan vindt er een verminderd transport van voedsel plaats vanuit de oesofagus naar de maag. Dit leidt tot klachten zoals dysfagie, regurgitatie van voedsel, pijn op de borst en gewichtsverlies. De onderliggende oorzaak van het afsterven van neuronen in de myenterische plexus van de oesofagus is onbekend waardoor de behandeling gericht is op symptoombestrijding. De behandelopties bestaan uit een endoscopische behandeling door middel van ballondilatatie van de onderste oesofagusfincter of een chirurgische behandeling middels laparoscopische myotomie. De endoscopische behandeling heeft een perforatie risico en vereist vaak meerdere behandelingen. De chirurgische behandeling is invasiever en heeft ook een perforatie risico. De huidige ontwikkelingen op het gebied van minder invasieve ingrepen heeft tot de ontwikkeling geleid van de puur endoscopische submucosale myotomie procedure (POEM). De eerste resultaten met de POEM zijn zeer positief en suggereren dat deze techniek effectiever en efficiënter zou kunnen zijn dan de pneumodilatatie.

Doel van het onderzoek

Het evalueren van de effectiviteit en veiligheid van de POEM ten opzichte van pneumodilatatie, bij therapie naïve achalasie patiënten. Dit wordt gedefinieerd als succesvol verbeteren van de symptomen met een Eckhardt score van 3 of minder op 12 maanden met daarbij de afwezigheid van endoscopische of chirurgische re-interventie tussen de eerste behandeling en het primaire eindpunt.

Onderzoeksopzet

Multicenter gerandomiseerde klinische studie.

Onderzoeksproduct en/of interventie

Proefpersonen worden gerandomiseerd voor POEM of pneumodilatatie. Per-orale endoscopische myotomie (POEM): Het volledig endoscopisch aanleggen van een submucosale tunnel tot aan de overgang van de oesofagus naar de maag waarna endoscopisch (door middel van een triangel knife) een myotomie van de circulaire spieren van de onderste slokdarmsfincter worden doorgenomen. De submucosale tunnel wordt vervolgens gesloten met endoscopische clips. Pneumodilatatie: Endoscopische dilatatie van de onderste slokdarmsfincter met een luchtgevulde Rigidflex ballon van 30mm en na 2-4

weken een tweede behandeling met een Rigidflex ballon van 35mm. Een derde behandeling wordt uitgevoerd als de Eckhardt score binnen 6 maanden boven de 3 is of als bariumslikfoto of hoge resolutie manometrie suggestief is voor een relapse. Een derde behandeling binnen 6 maanden behoort tot de standaardbehandeling en wordt niet als falen van de behandeling gezien.

Inschatting van belasting en risico

In deze studie zullen patienten behandeld worden met een per orale endoscopische myotomie (POEM) of een pneumodilatatie voor achalasie. Zowel de POEM als de pneumodilatatie zijn behandelingen die met risico's gepaard gaan. Tijdens beide behandelingen is er de kans dat er een bloeding ontstaat. Tevens kan er tijdens de procedure een perforatie van de slokdarm of maag ontstaan. Daarnaast is er een risico van het krijgen van een infectie. Deze complicaties kunnen vaak direct behandeld worden. Zie protocol 9.4

Om de effectiviteit van beide behandelingen met elkaar te vergelijken worden patienten gedurende 1 jaar vervolgd. Zij zullen verschillende vragenlijsten invullen 3 en 6 maanden en 1 jaar na initiële behandeling. Daarnaast zullen zij een gastroscopie, barium slikfoto, hoge resolutie impedantie manometrie en een 24-uurs pH-impedantie meting ondergaan 1 jaar na initiële behandeling. Alleen de barium slikfoto wordt niet standaard gedaan bij klinische follow up van deze patienten. Proefpersonen zullen na de procedure nog 3 keer worden teruggezien (op 3, 6 en 12 maanden na T=0) op de polikliniek in verband met follow-up van het onderzoek.

De eerste resultaten van de POEM zijn zeer positief en suggereren dat deze techniek beter zou kunnen zijn dan de pneumodilatatie. De risico's bij beide behandelingen zijn waarschijnlijk vergelijkbaar. Verder ondergaan patienten ook als ze niet meedoen aan de trial een behandeling, in de meeste gevallen zal dit een pneumodilatatie zijn.

Contactpersonen

Publiek

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1100DD
NL

Wetenschappelijk

Academisch Medisch Centrum

Meibergdreef 9
Amsterdam 1100DD
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)

Nieuw gediagnosticeerde patiënten met achalasie van 7 - 18 jaar oud met:

- Eckardt score >3;
- aanwezigheid van een hoge resolutie manometrie patroon passend bij achalasie type 1 of 2 volgens de Chicago Classificatie (CC) V3.0 criteria
- Barium slikfoto die suggestief is voor achalasie

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

- Eerdere chirurgie aan maag en/of slokdarm
- Patiënten bekend met stollingstoornissen
- Aanwezigheid van levercirrose en/of oesofagusvarices
- Bekend zijn met Barrett's oesofagus
- Zwangerschap op moment van behandeling
- Aanwezigheid van oesofagusstrictuur
- Aanwezigheid van maligne of premaligne oesofageale laesies

- Aanwezigheid van een extreem en tortueus verwijde (s-vormige) oesophagus
- Barium slikfoto suggestief voor andere pathologie

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Parallel
Toewijzing:	Gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd
Controle:	Geneesmiddel
Doel:	Behandeling / therapie

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	09-02-2022
Aantal proefpersonen:	30
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	21-06-2021
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	08-06-2022
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO	
Datum:	09-06-2022
Soort:	Amendement

Toetsingscommissie: METC Amsterdam UMC
Goedgekeurd WMO
Datum: 13-06-2024
Soort: Amendement
Toetsingscommissie: MEC Academisch Medisch Centrum (Amsterdam)
Kamer G4-214
Postbus 22660
1100 DD Amsterdam
020 566 7389
mecamc@amsterdamumc.nl

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	NL68967.018.20