

Echografie als nieuw meetinstrument om respiratoire spierstructuur en functie te meten bij patiënten met Duchenne spierdystrofie.

Gepubliceerd: 03-04-2024 Laatste bijgewerkt: 31-12-2024

Het eerste doel van dit onderzoek is om ademspier degeneratie en diafragma dysfunctie te kunnen kwantificeren met behulp van echografie in patiënten met DMD van alle leeftijden. Het tweede doel is om een beeld te krijgen van de uitkomsten van...

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Spieraandoeningen
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON56724

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

RESMUS-DMD

Aandoening

- Spieraandoeningen

Synoniemen aandoening

Duchenne spierdystrofie, ziekte van Duchenne

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Radboud Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: Duchenne Parents Project

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Duchenne, echografie, respiratoir, spieren

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

- Dikte van de ademspieren
- Excursie van het diafragma
- Echogeniciteit van de ademspieren.

Secundaire uitkomstmaten

Alle deelnemers: leeftijd, lengte, gewicht, medicatie

Patienten: Leeftijd begin ziekte, Leeftijd diagnose

Longfunctietesten

Klinische geschiedenis.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Duchenne spierdystrofie is een progressieve neuromusculaire aandoening, die onder andere zwakte van de ademspieren veroorzaakt, wat kan resulteren in longfalen en levensbedreigende longinfecties. Daarom zijn uitkomsten van longfunctie erg belangrijk om de longen in de gaten te kunnen houden en om nieuwe therapieën in clinical trials te kunnen evalueren. Op dit moment is spirometrie de meestgebruikte uitkomstmaat voor longfunctie. Dit is echter geen directe waarde voor de functie van de ademspieren, en is daarnaast moeilijk uit te voeren door jonge kinderen.

Recentelijk zijn er nieuwe geavanceerde echotechnieken geëvalueerd, die betrouwbare uitkomsten kunnen geven voor ademspier structuur en functie. Quantitative Muscle Ultrasound (QMUS) kan structurele veranderingen detecteren door vetinfiltratie of fibreus weefsel, terwijl conventionele spierecho's (dikte, excursie) dysfunctie van de ademspieren kan meten.

Doel van het onderzoek

Het eerste doel van dit onderzoek is om ademspier degeneratie en diafragma dysfunctie te kunnen kwantificeren met behulp van echografie in patienten met DMD van alle leeftijden.

Het tweede doel is om een beeld te krijgen van de uitkomsten van ademspierecho en deze te associëren met longfunctietesten.

Onderzoeksopzet

Het onderzoek is een cross-sectioneel onderzoek met patienten met Duchenne spierdystrofie en gezonde proefpersonen. De metingen zullen plaatsvinden in het Amalia Kinderziekenhuis in het Radboudumc in Nijmegen (deelnemers <18), en op de afdeling revalidatie (deelnemers >18). The meting duurt 30 minuten voor patienten en 1 uur voor gezonde proefpersonen. Het bezoek voor patienten zal gepland worden op een dag dat ze toch al in het Radboudumc moeten zijn. Op deze volle dag voor de patienten zullen ze gemeten worden direct nadat de logopedie bij de deelnemer geweest is. Zij gebruiken namelijk hetzelfde echoapparaat, waardoor de voorbereiding van de meting minder tijd zal kosten. Er zullen vier spiergroepen gemeten worden tijdens een meting, namelijk:

1. Diafragma (intercostaal en subcostale benadering)
2. Abdominale spieren (obliquus internus, obliquus externus, abdominis transversus)
3. Parasternale spieren
4. Sternocleidomastoideus

Inschatting van belasting en risico

De risico's en belasting van dit onderzoek zijn verwaarloosbaar, volgens de NFU risico classificatie. Patienten zullen gewoon met de medicatie verdergaan. De belasting van de echo is klein. De deelnemers wordt gevraagd om normaal adem te halen en om zo diep mogelijk in te ademen. De duur van de echo zal ook niet als belastend worden ervaren. De longfunctie test die de gezonde proefpersonen zullen uitvoeren kan als licht onaangenaam worden ervaren.

Contactpersonen

Publiek

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525GA
NL

Wetenschappelijk

Radboud Universitair Medisch Centrum

Geert Grooteplein Zuid 10
Nijmegen 6525GA
NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Adolescenten (12-15 jaar)
Adolescenten (16-17 jaar)
Volwassenen (18-64 jaar)
Kinderen (2-11 jaar)

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Gezonde proefpersonen: competente gezonde mannelijke vrijwilligers
Patienten: Patienten met genetisch bewezen Duchenne spierdystrofie, die nu behandeld worden in het Radboudumc.

Alle deelnemers: - Vaardigheid om deel te nemen en voldoet aan de benodigdheden.
- Als >16: Wil en vaardigheid om het onderzoek te begrijpen
- Als 12-16 Ouders en deelnemer met wil en vaardigheid om het onderzoek te begrijpen.
- Als <12: Ouders met wil en vaardigheid om het onderzoek te begrijpen

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Gezonde vrijwilligers: Eerdere of voortdurende neuromusculaire aandoening.

- Eerdere of voortdurende pulmonaire afwijkingen
 - Roken
- Patienten: - Chronische long, hart of lever aandoening.
- Extra gediagnostiseerde longaandoening.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd

Doel: Diagnostiek

Deelname

Nederland	
Status:	Werving gestart
(Verwachte) startdatum:	06-05-2024
Aantal proefpersonen:	90
Type:	Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO	
Datum:	03-04-2024
Soort:	Eerste indiening
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)
Goedgekeurd WMO	
Datum:	24-12-2024
Soort:	Amendement
Toetsingscommissie:	CMO regio Arnhem-Nijmegen (Nijmegen)

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	NL85831.091.23