

Duchenne congres 18-05-2019

- De impact van deelname aan klinische studies -

Psychologen NMRC kinderen – UZ Leuven Gasthuisberg

Sam Geuens & Joanna Willen

NMRC kinderen & adolescenten

- UZ Leuven Gasthuisberg -

= multidisciplinair team

- Prof. Dr. Goemans
- Prof. Dr. De Waele
- Verpleegkundige Vera Maenen
- Kinesitherapeut Marleen van den Hauwe
- Ergotherapeut Leonie Vandenhoudt
- Diëtiste Marianne Diels
- Sociaal werker Cindy Kunnen
- Secretaresse Carine Wierinckx
- Neuropsycholoog Sam Geuens
- Neuropsycholoog Joanna Willen
- Clinical trial assistants: Goedele Stegen, Annelies Vanden Eynden, Eva Gielis



De impact van deelname aan klinische studies op psychosociaal welbevinden bij kinderen met DMD en hun ouders



- Toenemend aantal klinische studies voor jongens met DMD
- De belasting en tijdsinvestering (= 'burden') van deelname aan een klinische studie mag niet onderschat worden
- Slechts zelden onderzocht in het verleden
- > DOEL: de impact van deelname op het psychosociaal welbevinden 'meten' bij zowel patiënten als hun ouders

Het onderzoek

➤ Wat?

➤ Hoe?

1. Studie vs. controle

- De impact van deelname aan klinische studies op het psychosociaal welbevinden van zowel patiënten als hun ouders
- Voorbereidend werk
- Studiegroep ^(*) vs. controlegroep
- 'Gematched' op leeftijd en geslacht
- Aan de hand van het invullen van vragenlijsten die gedrag, dagelijkse bezigheden en levenskwaliteit meten
 - Child Behaviour Checklist
 - Adult Self Report
 - Youth Self Report
 - PedsQL

	Studie	Controle
N kinderen	25	18
Gemiddelde leeftijd kinderen	12,11	12,80
Leeftijdsbereik kinderen	6-19	6-18
N moeders	25	18
N vaders	21	11

(*) exon-skipping trial, natural history studie, PTC trial

➤ Hoe?

2. De impact?

- Zelden/Nooit eerder onderzocht
- DUS: nieuw meetinstrument ontwikkeld: **'Clinical Trial Survey'**

6. Hoe vaak moet u naar het ziekenhuis komen voor de studiebezoeken?

- a. Eén keer per week
- b. Eén keer per maand
- c. Eén keer om de acht weken
- d. Een keer om de twaalf weken
- e. Eén keer om de zes maanden
- f. Eén keer per jaar

7. Krijgt uw zoon/ dochter studiemedicatie?

- a. Ja
- b. Nee

8. Op welke manier wordt de studiemedicatie toegediend?

- a. Oraal (tabletten, siroop, poeder,...)
- b. Sub-cutaan (inspuiting)
- c. Intraveneus via een perifere katheter
- d. Intraveneus via een ingeplante katheter (Port-A-Cath)

9. Hoe lang duurt een typisch studiebezoek in het ziekenhuis?

- a. Eén uur
- b. Twee uur
- c. Drie uur
- d. Vier uur
- e. Vijf uur
- f. Zes uur
- g. Meer dan zes uur

14. Indien ja, op welke van de volgende manieren (alles aanvinken wat van toepassing is)?

- a. Loopbaanevolutie/ promoties
- b. Loopbaankeuze
- c. Werkloosheid
- d. Deeltijds in plaats van voltijds werk
- e. Bereikte onderwijsniveau
- f. Andere:.....

15. Indien u momenteel werkend bent: schat het werkverzuim als gevolg van de deelname aan de studie:

- a. 1-10 dagen per jaar
- b. 11-20 dagen per jaar
- c. 21-30 dagen per jaar
- d. 31-40 dagen per jaar
- e. 41-50 dagen per jaar
- f. 51-60 dagen per jaar
- g. >60 dagen per jaar

16. Gaat uw kind momenteel naar school?

- a. Ja
- b. Nee

17. Hebt u het gevoel dat de opleiding van uw kind wordt beïnvloed door de deelname aan de studie?

- a. Ja
- b. Nee

➤ Resultaten?

1. De impact op deelname aan klinische studies

- a. Tijdsinvestering
- b. Impact op dagelijkse leven
- c. Impact van het studieprotocol

2. Studie vs. Controle

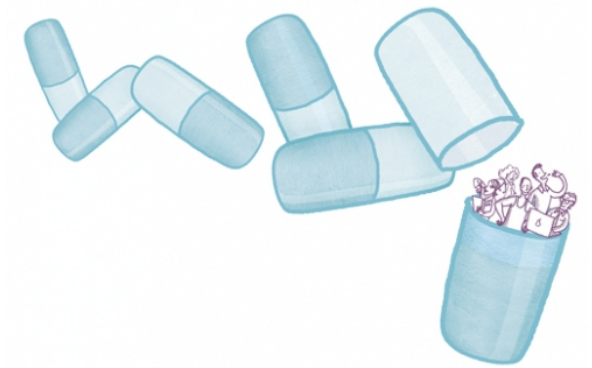
- a. Algemeen functioneren: fysiek, emotioneel, sociaal, school
- b. Gedrag, dagdagelijkse bezigheden,...

1. Tijdsinvestering

- 37% moet 1x/week naar het ziekenhuis komen
- De tijdsduur van een ziekenhuisbezoek bedraagt gemiddeld 2-4 uur
- 65% is 2-3 uur onderweg voor een ziekenhuisbezoek, voor 25% is dit meer dan 4 uur
- Ongeveer 10% moet iets regelen om te blijven overnachten



2. Impact op dagelijks leven



- 91% van de vaders werkt voltijds, terwijl slechts 36% van de moeders voltijds werkt
- 1/3 van de ouders vindt dat hun beroepsstatus beïnvloed wordt door de studie, voornamelijk in het kader van het missen van kansen op promotie
- Ongeveer 80% van de ouders rapporteert dat ze 10 dagen per jaar afwezig zijn op hun werk door deelname aan de studie. Voor 10% van de moeders gaat dit over 40-50 dagen per jaar
- Ongeveer 20% van de ouders geeft aan dat er een significante impact is van deelname aan de studie op het onderwijs van hun kind
- 16% van de moeders voelt dat hun relatie met hun partner beïnvloed wordt door de deelname aan de studie

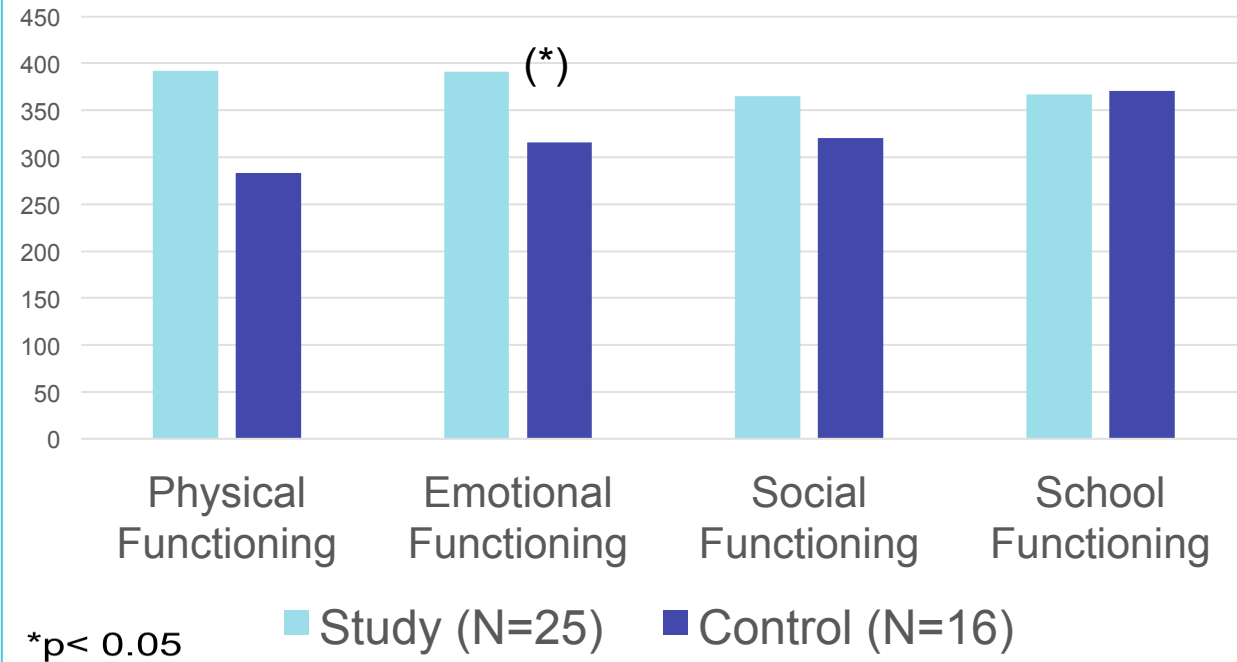
3. Impact van het studieprotocol

- 40% van de ouders vindt de regelmatige bloednamen matig vervelend; 50% denkt dat hun kind het matig storend vindt; minder dan 10% vindt het heel erg vervelend.
- Voor 25% is het vervelend wanneer de katheder wordt geplaatst.
- Ongeveer 20% vindt de testmomenten bij de kinesitherapeute een beetje vervelend.
- Het invullen van vragenlijsten vindt 20% van de ouders vervelend.
- Medische onderzoeken zoals ECG, ultrasonographie of MRI worden niet als vervelend ervaren.
- Naar het ziekenhuis komen wordt door 25-30% van de gezinnen als vervelend ervaren.



Studie vs. Controle? Quality of Life

PedsQL zelfrapportage kinderen



Studie vs. Controle? psychosociaal functioneren

ASEBA subscale	N study	Mean study	N control	Mean control	t
YSR total problems	15	49,13	7	47,86	-0,218
CBCL mothers total problems	25	54,92	17	54,59	-0,101
CBCL fathers total problems	21	52,14	11	51,73	-0,104
ASR mothers total problems	23	46,70	17	49,71	0,942
ASR mothers friends	24	46,42	17	39,35	-2,178*
ASR mothers somatic complaints	23	58,52	17	54,18	-2,094*
ASR fathers somatic complaints	21	51,43	14	59,00	2,319*
ASR fathers aggressive behaviour	21	51,14	14	53,43	2,082*
ASR fathers externalising problems	21	40,52	14	47,29	2,996*
ASR fathers total problems	21	39,19	14	46,93	2,449*
*p< 0.05 YSR Youth Self Report, CBCL Child Behaviour Checklist, ASR Adult Self Report					

Studie vs. Controle? samenhang binnen gezin

Correlaties tussen Variabelen	Studie	Controle
“YSR internaliserende problemen” en “ASR moeder internaliserende problemen”	.26	.74*
“YSR internaliserende problemen” en “ASR vader internaliserende problemen”	.51*	.38
“PedsQL fysiek functioneren van kinderen” en “ASR vader internaliserende problemen”	.55**	.09
“PedsQL fysiek functioneren van kinderen” en “ASR vader totale problemen”	.61**	.13
*p< 0.05; **p<0.01 YSR Youth Self Report, ASR Adult Self Report		

➤ Conclusie?

1. - De investering die kinderen en hun ouders moeten doen voor deelname aan klinische studies is aanzienlijk en er is een impact op het dagelijkse leven
2. - Kinderen en ouders die aan een klinische studie deelnemen rapporteren geen lagere levenskwaliteit of meer psychosociale problemen
3. - Het 'mogen' deelnemen aan een klinische studie heeft mogelijks een positief effect op het psychosociaal welbevinden van jongens met DMD en hun familie
4. - Er zou meer aandacht moeten zijn voor de impact van deelname aan een klinische studie op de dynamieken binnen een gezin
5. - Er zou counseling moeten zijn voor de gezinnen die kunnen deelnemen aan klinische studies en voor de gezinnen die niet kunnen deelnemen

Wetenschappelijke publicatie?

Posterpresentaties

- Juli 2018: **ICNMD 2018**
(International Congress of Neuromuscular Diseases) in Wenen, Oostenrijk
- September 2018: **EPPC 2018**
(European Pediatric Psychology Congress) in Gent, België
- Oktober 2018: **WMS 2018**
(World Muscle Society) in Mendoza, Argentinië
- September 2019: **VCJKPP 2019**, Leuven



➤ To do?

- Meer bewust zijn voor counseling bij gezinnen die -al dan niet- aan een klinische studie kunnen deelnemen
- Klinisch onderzoek verder uitbreiden...
 - om dit vervolgens toe te passen in de praktijk...
 - en uiteindelijk de meest optimale vorm van zorg te kunnen bieden...
 - a.d.h.v. studieprotocollen die de “burden” van deelname zo miniem mogelijk houden.

BEDANKT!

- Voor extra informatie of bijkomende vragen:
 - sam.geuens@uzleuven.be
 - joanna.willen@uzleuven.be