

Invitatiebrief

Behandeling bij kinderen met Vanishing White Matter (VWM)

Geachte heer/mevrouw,

Wij vragen u of u informatie zou willen ontvangen over onderzoek naar behandeling van de ziekte die officieel “Vanishing White Matter” heet, vertaald “verdwijnende witte stof”, afgekort “VWM”. Wij vragen dat omdat u een kind heeft of wettelijk verantwoordelijk bent voor een kind met deze ziekte.

VWM is een ernstige hersenziekte die vooral bij jonge kinderen voorkomt. Meestal begint de ziekte vóór de leeftijd van 4 jaar. Kinderen worden steeds erger gehandicapt, komen in een rolstoel en overlijden na een paar jaar. Er is geen behandeling. Wij kunnen niets anders doen dan de kinderen volgen en hun klachten zo goed mogelijk bestrijden.

Wij zijn op zoek naar behandeling. Guanabenz is een oud en bekend geneesmiddel voor de behandeling van hoge bloeddruk. Het heeft goedkeuring van de FDA, de Amerikaanse geneesmiddelen autoriteit. Gezien het werkingsmechanisme van Guanabenz, achten wij het aannemelijk dat het kan helpen bij VWM. Wij hebben laboratorium-muizen met VWM en hebben Guanabenz op hen uitgetoet. De resultaten tonen dat langdurige behandeling met hoge doses Guanabenz de ziekte bij muizen met VWM gunstig beïnvloedt met belangrijke verbetering van de motoriek en afname van de hersenpathologie. Omdat wij eerder aangetoond hebben dat het ziektemechanisme van VWM en het aangrijpingspunt van Guanabenz bij muizen hetzelfde zijn als bij mensen, is de verwachting dat langdurige behandeling met een hoge dosis Guanabenz ook een gunstig effect kan hebben bij patiënten met VWM. Muizen verschillen echter van mensen en het effect van Guanabenz bij mensen met VWM moet nog worden onderzocht.

Omdat Guanabenz al jaren door volwassenen met hoge bloeddruk is gebruikt en bij deze patiëntengroep veilig is gebleken, en onderzoek ook veilig gebruik van Guanabenz bij tieners met hoge bloeddruk ondersteunt, willen wij Guanabenz geven aan kinderen met VWM.

Wij richten het onderzoek speciaal op jonge kinderen, omdat zij het vaakst door de ziekte getroffen zijn. Jonge kinderen hebben een sneller verlopende ziekte dan oudere kinderen en volwassenen en daardoor maakt onderzoek bij hen sneller duidelijk of Guanabenz helpt of niet. De duur van het onderzoek is tenminste 1 jaar en kan oplopen tot 4 jaar, afhankelijk van hoe snel het geplande aantal van 30 kinderen in de studie kunnen worden ingesloten. Wij geven de behandeling aan het begin van de ziekte, als de hersenen nog niet uitgebreid onherstelbaar beschadigd zijn. Omdat dit het eerste onderzoek is met Guanabenz bij jonge kinderen, zal de veiligheid van Guanabenz tijdens de gehele studie zorgvuldig worden gemonitord. Omdat nog onduidelijk is of jonge kinderen Guanabenz in hogere doses verdragen, zal de fase van instelling onder intensieve controle plaatsvinden. Omdat er geen biomarkers in lichaamsvloeistoffen bekend zijn waarmee VWM gemonitord kan worden, willen we het onderzoek ook gebruiken om naar geschikte biomarkers te zoeken.

Om te kunnen deelnemen aan het onderzoek, moet de ziekte vóór de leeftijd van 6 jaar zijn begonnen en de patiënt moet op dit moment een maximale ziekteduur hebben van 8 jaar. De patiënt moet nog kunnen opstaan en lopen, zonder of met enige steun. De diagnose VWM moet bewezen zijn met DNA- en MRI-onderzoek. Daarnaast mag de patiënt geen andere belangrijke ziekte hebben dan VWM, hij/zij mag niet deelnemen aan ander medisch-wetenschappelijk onderzoek, en hij/zij moet MRI-onderzoek kunnen ondergaan (d.w.z. de patiënt mag geen implantaten hebben die metaal bevatten, zoals een cochleair implantaat, neurostimulator of pacemaker).

Als u meer informatie over het onderzoek wilt ontvangen, laat ons dat dan weten; dan sturen wij u alle gegevens. Het beste kunt u ons bereiken op mailadres TreatVWM@amsterdamumc.nl.

Prof. Dr. M.S. van der Knaap, kinderneuroloog Amsterdam UMC, hoofdonderzoeker
Dr. N.I Wolf, kinderneuroloog Amsterdam UMC, onderzoeker
Dr. R.J. Verbeek, kinderneuroloog, Amsterdam UMC, onderzoeker