

# SPACE Trial



UMC Utrecht

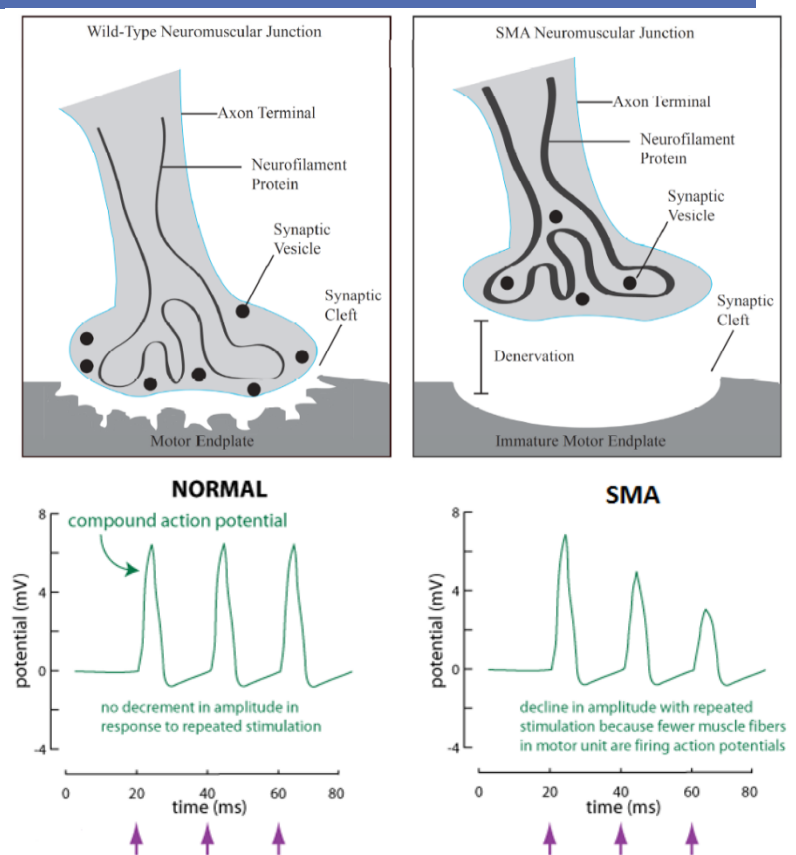
SMA EXPERTISECENTRUM

Prof. Dr. Leonard van den Berg, Dr. Ludo van de Pol, Drs. Camiel Wijngaarde, Drs. Bart Bartels, Drs. Marloes Stam, Drs. Renske Wadman, Dr. Stephan Goedee, Mw. Nicky Peeters, Mw. Bea Nijboer, Mw. Fay-Lynn Asselman.

Veel patiënten met SMA hebben naast zwakte van de spieren ook last van snelle vermoeibaarheid. Eerder onderzoek heeft laten zien dat dit mogelijk het gevolg is van een minder efficiënte prikkeloverdracht van het signaal van de zenuwen naar de spieren. Daarom testen we in de SPACE Trial het effect van het medicijn pyridostigmine (mestinon), dat de prikkeloverdracht tussen zenuw en spier verbetert.

## Achtergrond

Proximale spinale spieratrofie (SMA) wordt gekenmerkt door progressieve spierzwakte. Recente onderzoeken hebben laten zien dat er bij SMA veranderingen te zien zijn in de zenuw-spierovergang (ook wel neuromusculaire overgang genoemd). Een verminderde functie van de zenuw-spier overgang kan symptomen zoals krachtsvermindering en een verminderd uithoudingsvermogen veroorzaken. Op deze manier draagt het bij aan symptomen die mensen met SMA kunnen ervaren. Een veel gebruikt medicijn voor verbetering van de prikkeloverdracht van de neuromusculaire overgang is pyridostigmine. Dit middel wordt gebruikt bij een andere aandoening, 'myasthenia gravis' of myasthenie' en helpt de klachten van het snel optreden van vermoeidheid bij herhaalde bewegingen te verbeteren. Onze hypothese is dat pyridostigmine de prikkeloverdracht van de zenuwen naar de spieren bij mensen met SMA ook kan verbeteren. Hierdoor zouden spierkracht en uithoudingsvermogen kunnen verbeteren. Pyridostigmine is een experimenteel geneesmiddel bij SMA en de mogelijke voordelen zijn nog niet vastgesteld.



We vonden bij 50% van de mensen met SMA een afwijkende functie van de spier-zenuw overgang bij zenuw geleidings onderzoek (Wadman 2012)

## Studie-opzet

Patiënten met SMA typen 2, 3 en 4 van de leeftijd van 12 jaar of ouder kunnen deelnemen aan het onderzoek. Het onderzoek begint met een 'Screeningsvisit', waarbij gekeken wordt of iemand in aanmerking komt voor deelname: het moet veilig zijn om mee te doen aan de studie en de onderzoekers moeten voldoende goed de tests kunnen uitvoeren om vermoeibaarheid te meten. Na inclusie en tijdens de studieperiode gebruikt iemand gedurende één periode van 8 weken het medicijn en één periode van 8 weken een placebo (een nep-medicijn). Gedurende de studie wordt meermalen het uithoudingsvermogen getest. Op die manier proberen we een eventuele verandering door het gebruik van de medicatie te vangen. Zowel de deelnemers als de onderzoekers weten tijdens de SPACE Trial niet welk middel er wordt gebruikt in welke periode. De tabletten van het medicijn en de placebo zijn niet van elkaar te onderscheiden.



Meer informatie of geïnteresseerd in deelname aan dit onderzoek? Kijk op onze website [www.smaonderzoek.nl](http://www.smaonderzoek.nl) of neemt contact met ons op via [smaonderzoek@umcutrecht.nl](mailto:smaonderzoek@umcutrecht.nl)