



## een studie bij mensen met Myotone Dystrofie type 1

Observational Prolonged Trial  
in Myotonic Dystrophy type 1  
to Improve Quality of Life Standards,  
a Target Identification Collaboration

## Samenvatting Informatie

# Radboudumc

### Wat is OPTIMISTIC?

OPTIMISTIC is een wetenschappelijk onderzoek voor mensen met myotone dystrofie type 1. De studie is een Europese samenwerking en wordt in meerdere ziekenhuizen in Europa uitgevoerd: zowel in Engeland, als in Frankrijk en in Duitsland worden mensen aangeschreven om deel te nemen. De studie wordt gefinancierd door het Zevende Kaderprogramma van de Europese Unie.

### Waarom doen wij deze studie?

Mensen met myotone dystrofie type 1 ervaren veel verschillende klachten. Vooral vermoeidheid komt bij veel mensen voor. Er zijn tot nu toe geen geneesmiddelen die de symptomen van myotone dystrofie type 1 kunnen verminderen, met uitzondering van het geneesmiddel Modafinil, dat wordt gebruikt tegen overmatige slaperigheid overdag.

### Wat is het doel van de studie?

Het doel van de studie OPTIMISTIC is om te onderzoeken of cognitieve gedragstherapie effect heeft op de mate van vermoeidheid en lichamelijke activiteit bij mensen met myotone dystrofie type 1 in vergelijking met de bestaande behandeling.

### Wat is Cognitieve Gedragstherapie?

Cognitieve gedragstherapie (CGT) is een vorm van psychologische behandeling. Bij deze cognitieve gedragstherapie wordt gekeken naar hoe een persoon denkt en hoe hij reageert op problemen. De therapie is een proces waarbij een persoon wordt gecoacht om niet helpende gedachten en gedrag te veranderen. Gedurende de gedragstherapie sessies krijgt u advies over hoe u gedrag kunt veranderen om met het

dagelijks leven om te gaan. Hierbij zal u ook persoonlijke doelen stellen, welke uw therapeut u zal helpen te behalen.

OPTIMISTIC zal testen of cognitieve gedragstherapie:

- Vermoeidheid kan verminderen
- Kan helpen om te leren compenseren voor verminderd initiatief zodat u toch actief kunt zijn
- Relaties kan verbeteren met naasten

Als u wordt ingeloot om cognitieve gedragstherapie te volgen, dan krijgt u gedurende 10 maanden therapie aangeboden verdeeld over 10-14 sessies. De sessies zullen één op één zijn, telefonisch of via gebruik van internet.

### Waarom ben ik uitgenodigd om deel te nemen aan deze studie?

U bent uitgenodigd om deel te nemen aan dit wetenschappelijk onderzoek omdat u myotone dystrofie type 1 heeft en bekend bent op de polikliniek van het Radboudumc.

### Wat gaat er gebeuren als ik deelneem aan deze studie?

Mensen die deelnemen aan deze studie worden gevraagd om de polikliniek Neurologie en het Nijmeegs Kenniscentrum Chronische Vermoeidheid te bezoeken. Dit zijn 4 tot 12 ziekenhuisbezoeken verspreid over 17 maanden, afhankelijk in welke groep u bent toegewezen. Al uw reiskosten worden vergoed.

Als u interesse heeft om deel te nemen aan OPTIMISTIC zullen we een afspraak regelen op de polikliniek neurologie van het Radboudumc.

Een lid van het studieteam zal de studie met u bespreken en al uw vragen beantwoorden. Als u besluit om deel te nemen aan de studie wordt u gevraagd een toestemmingsformulier te tekenen.

Als u na het 1<sup>e</sup> bezoek in aanmerking komt om deel te nemen, wordt u willekeurig ingedeeld in 1 van de 2 groepen: ofwel u loot de cognitieve gedragstherapie, ofwel u loot de groep waar de huidige behandeling wordt voortgezet.

#### *Groep voortzetten huidige behandeling:*

Er verandert voor u verder niets. De controles bij uw neuroloog gaan gewoon door en ook andere vormen van behandeling kunt u gewoon voortzetten.

#### *Groep cognitieve gedragstherapie:*

U krijgt naast de bestaande behandeling bij uw neuroloog gedurende 10 maanden CGT aangeboden; dit bestaat uit 10 tot 14 behandelingen. De sessies zullen deels plaatsvinden in het Radboudumc, maar kunnen ook telefonisch of via internet plaatsvinden; dat bespreekt u met uw therapeut.

#### **Wat gebeurt er tijdens de 4 studiebezoeken?**

Tijdens het 1<sup>e</sup> bezoek wordt specifiek gekeken of u inderdaad deel kunt nemen aan het onderzoek. Daarvoor worden direct een paar korte testen afgenomen. Als bij u de genetische diagnose van myotone dystrofie type 1 via het bloed nog niet is gesteld, nemen wij bij uw 1<sup>e</sup> bezoek een buisje bloed af zodat we de diagnose met zekerheid kunnen vaststellen.

Gedurende het 1<sup>e</sup> bezoek stelt de onderzoeker u een aantal vragen over uw medische voorgeschiedenis en uw huidige gezondheid. Tijdens elk bezoek wordt u

ook gevraagd om een aantal vragenlijsten in te vullen. Daarnaast zullen we een aantal testen bij u doen zoals een looptest. Elk bezoek duurt ongeveer een dagdeel; gedurende het bezoek wordt u begeleid door het onderzoeksteam.

Op bezoek 1, 3 en 4 wordt u gevraagd bloed en urine af te staan zodat we kunnen kijken naar speciale eiwitten. Uw bloed en urinemonsters worden zorgvuldig opgeslagen en geanalyseerd door leden van het studieteam.

Tenslotte krijgt u afloop van elk bezoek een soort horloge mee dat uw lichamelijke activiteit in kaart brengt. U wordt gevraagd om dit apparaatje gedurende 14 dagen om uw enkel te dragen.

#### **Kan ik mijn partner of mantelzorgers betrekken bij de studie?**

Uw partner, mantelzorgers, familielid of iemand anders die dicht bij u staat voorziet u vaak van essentiële zorg en ondersteuning. Wij willen graag, met uw instemming, degene die u helpt met uw myotone dystrofie, uitnodigen om deel te nemen aan de studie. We zullen hen meer informatie geven en als hij/zij wil deelnemen, vragen een toestemmingsformulier te tekenen. We zullen hen vragen bij elk studiebezoek 3 vragenlijsten in te vullen.

Als u loot voor de interventiegroep zal de therapeut u proberen te leren hoe uw mantelzorgers u kan ondersteunen en aanmoedigen om uw doelen te behalen. Als uw partner/mantelzorgers niet wenst deel te nemen aan deze studie, kunt u nog steeds deelnemen aan de hoofdstudie en dit zal geen effect hebben op uw toekomstige zorg of behandeling.

Als u niet in aanmerking komt voor deelname aan de studie zal een lid van het studieteam u uitleggen waarom niet. U hoeft dan niet meer te komen voor verdere studiebezoeken.

#### **Zal mijn deelname aan het onderzoek vertrouwelijk worden behandeld?**

Ja, uw persoonlijke gegevens en informatie die we verzamelen zullen strikt vertrouwelijk worden behandeld. U zult in toekomstige publicaties of rapporten met betrekking tot de studie niet kunnen worden herkend. Wij zullen uw toestemming vragen om uw huisarts te vertellen dat u deelneemt aan de studie.

#### **Ben ik verplicht deel te nemen aan de studie?**

Deelname aan het onderzoek is geheel vrijwillig en u kunt weigeren om deel te nemen. U kunt u terugtrekken op elk moment zonder een reden op te geven en zonder dat dit van invloed is op uw toekomstige medische zorg of uw relatie met de medische staf.

#### **Wat gebeurt er nu?**

Binnenkort neemt iemand van het onderzoeksteam contact met u op. Als u vragen heeft over OPTIMISTIC of als u interesse heeft om deel te nemen, kunt u ook zelf contact opnemen via onderstaande gegevens. Als u op basis van deze informatie besluit niet deel te willen nemen, kunt u ons dat ook laten weten.

#### **Studiecoördinator:**

Dr. Marlies van Nimwegen

#### **Polikliniek assistent:**

Yvonne Cornelissen

[optimistic.neuro@radboudumc.nl](mailto:optimistic.neuro@radboudumc.nl)

Onderzoeksbureau Neurologie: 024 – 3655787

Meer informatie op: [www.optimistic-dm.eu](http://www.optimistic-dm.eu)