

Afbeelding 1: Tijdsbalk onderzoek

4'-PPT onderzoek

Informatiebrief april 2022

Beste lezer,

Deze informatiebrief is bedoeld voor deelnemers aan het 4'-PPT onderzoek, hun familieleden en voor andere geïnteresseerden. We informeren u in deze brief over de stand van zaken van het onderzoek en de uitdagingen die er in het afgelopen half jaar waren. Daarnaast geven we in deze brief antwoord op een aantal vragen die aan ons werden gesteld en blikken we vooruit op de komende periode.

Stand van zaken - In september 2021 zijn we van start gegaan met het onderzoek naar het vitamine supplement 4'-phosphopantetheine (4'-PPT) bij de ziekte PKAN. Het doel van het onderzoek is om te onderzoeken of er bepaalde waarden (o.a. mogelijke biomarker) in het bloed veranderen bij gebruik van 4'-PPT, en om na te gaan of 4'-PPT goed wordt verdragen. Tien Nederlandse en Belgische deelnemers met PKAN kregen 4'-PPT in oplopende dosering met twee tussentijdse periodes van vier weken zonder 4'-PPT (wash-out periodes).

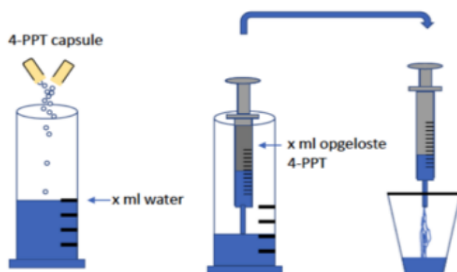
Sinds de start van het onderzoek vonden per deelnemer tien bezoeken plaats waarbij bloed werd afgenomen, video's werden gemaakt en er werden vragen aan de deelnemers en hun familieleden gesteld. Voor deze bezoeken werd het vaste onderzoeksteam van het UMCG ondersteund door negen



Afbeelding 2: De benodigheden voor een huisbezoek.

geneeskunde studenten en twee doktersassistenten van de kindergeneeskunde die allen veel ervaring hebben met bloed prikken. Wij zijn hen erg dankbaar voor hun inzet en toewijding.

Uitdagingen - De deelnemers wonen verspreid door Nederland en België. Hierdoor was de logistiek van de bijna 100 (!) bezoeken ingewikkeld. Er was in de studieopzet voor gekozen om zoveel mogelijk naar de deelnemers toe te reizen, omdat het voor veel van hen belastend zou zijn om naar Groningen te moeten afreizen. Een aantal deelnemers hebben wij ontmoet op bijzondere locaties in Tilburg, met goede voorzieningen, zoals het Koning Willem II Stadion. Stichting Kans voor PKAN Kinderen heeft deze locaties geregeld, in samenwerking met de Bonheur Horeca Groep. We willen graag onze dank uitspreken hiervoor. De overige bezoeken waren huisbezoeken. De bezoeken werden afgelegd met een grote hoeveelheid spullen en een ingewikkeld protocol waarin de werkwijze beschreven stond, omdat het bloed op een speciale manier afgenomen en verwerkt moest worden (zie afbeelding 2). Daarnaast leidde de COVID-pandemie tot hindernissen. En dan hadden we nog storm Eunice. Ondanks deze uitdagingen zijn alle bezoeken doorgegaan.



Afbeelding 3: Instructie capsules

Toediening - Een bepaald aantal capsules moet worden opgelost in water, waarna een specifiek aantal milliliters moet worden ingenomen (afbeelding 3). De toedieningsinstructie werd gemaakt door de onderzoekers en de ziekenhuisapotheker, met berekeningen die zijn gebaseerd op het lichaamsoppervlak van de deelnemer. Het oplossen en innemen van de capsules ging goed.

Tussentijdse resultaten - De eerste vijf maanden van het 4'-PPT onderzoek zijn volgens plan verlopen. Deelnemers en familieleden vroegen ons of er op dit moment al resultaten bekend zijn. Het antwoord op deze vraag is dat we tussentijdse resultaten niet bekend mogen maken. Eén van de redenen hiervoor is dat tussentijdse conclusies onjuiste verwachtingen teweeg kunnen brengen. Na afronding van het onderzoek (najaar 2023) zullen alle gegevens worden geanalyseerd en uiteindelijk openbaar gemaakt worden.

Vooruitblik - We zijn nu begonnen met een periode van in totaal 19 maanden waarin de deelnemers aan het onderzoek 4'-PPT gebruiken in een vaste dosering, in principe de middelste dosering (15 mg/m²). De meest recente

bloeduitslagen zijn geanalyseerd, afhankelijk van de resultaten is de dosering aangepast.

In deze tweede fase van het onderzoek zullen we de deelnemers en hun familieleden minder spreken en zien. Daarom zal tot het najaar van 2023 twee keer per jaar een informatiebrief uitgebracht worden over het 4'-PPT onderzoek, met daarin de stand van zaken en overige informatie. De volgende informatiebrief zal uitgebracht worden in het najaar van 2022.

Het is nu nog onbekend hoe het verloop na dit onderzoek zal zijn, we hopen u daar over te kunnen inlichten in de volgende informatiebrief.

Onderzoek Amerika - Het onderzoek met 4'-PPT in Amerika loopt de aankomende maanden ten einde. Er zijn nog geen resultaten bekend.

Meer informatie - Lees voor achtergrondinformatie over het 4'-PPT onderzoek ook het informatiebericht op de website van Movement Disorders Groningen '[Klinische trial PKAN gestart](#)'. Daarnaast hopen wij u allen te zien op de patiëntendag in het UMCG op 14 mei!

We willen graag alle deelnemers, hun familie, Stichting Kans voor PKAN Kinderen, Stichting IJzersterk, en overige betrokkenen bedanken voor hun inzet, flexibiliteit en gastvrijheid.

Vragen of onderwerpen voor de volgende informatiebrief?

Mail naar PKAN@neuro.umcg.nl

