

**Ascorbic acid for Charcot-Marie-Tooth disease type 1A in children: a randomised, double-blind, placebo-controlled, safety and efficacy trial.**

Burns J, Ouvrier RA, Yiu EM, Joseph PD, Kornberg AJ, Fahey MC, Ryan MM.

Lancet Neurol. 2009 Jun;8(6):537-44.

Onderzoekers in Australië hebben een gerandomiseerde, placebo-gecontroleerde trial gedaan met vitamine C bij kinderen met CMT1A. Eerder onderzoek in proefdieren en gekweekte cellijnen deed vermoeden dat vitamine C een gunstig effect zou kunnen hebben op remyelinisatie (herstel van de isolerende laag van de zenuwen, belangrijk voor prikkelgeleiding). In de Australische proef deden 81 kinderen mee, in de leeftijd van 2 tot 16 jaar. Zij werden behandeld met hoge doses vitamine C, circa 30 mg/kg lichaamsgewicht/dag (375-1625 mg/dag). Na een jaar bleek dat de behandeling veilig was, maar geen meetbaar effect had op zenuwgeleiding, spierkracht, spierfunctie of kwaliteit van leven. Toch is er aanleiding voor verder onderzoek.

De met vitamine C behandelde groep ging een beetje vooruit in zenuwgeleidingssnelheid (gemiddeld 9%, 1,5 m/s). Vooral de minst aangedane kinderen gingen vooruit. Opmerkelijk was dat de placebogroep stabiel bleef. Op grond van eerder onderzoek bij jonge kinderen, verwachtten de onderzoekers een gemiddelde achteruitgang te zien van 2,5 m/s per jaar, zonder enige behandeling. Alle kinderen zijn gecontroleerd op vitamine C gehalte in het bloed. De behandelde groep had, zoals verwacht, sterk verhoogde spiegels aan het eind van de proef. Onverwacht bleek de placebo groep een verhoogde vitamine C spiegel te hebben aan het eind van het jaar. Dit zou het gevolg kunnen zijn aan toegenomen gebruik van vitamine-C-rijke groente en fruit en/of supplementen, bewust of onbewust, in de gezinnen die meededen aan het onderzoek. Mogelijk zou dat ook kunnen verklaren waarom de placebo-groep stabiel bleef. Het is de vraag of een verbetering van zenuwgeleidingssnelheid van 1,5 m/s over één jaar belangrijk is. Toekomstig onderzoek is nodig over een langere tijdsspanne, rekening houdend met langzame progressie. Proeven met een hogere dosering vitamine C ligt niet voor de hand omdat hoge doses schadelijk zijn. De inname van vitamine C via de gewone voeding en supplementen zal altijd voor 'ruis' zorgen. Een oplossing hiervoor kan zijn het bestuderen van grotere groepen patiënten. Tot slot blijft het een uitdaging om relevante uitkomstmaten te kennen. Het zou erg leerzaam zijn om direct te kijken naar zenuwweefsel, maar biopsieën zouden belastend zijn voor de deelnemende kinderen.