

UNIVERSITÄTSKLINIKUM FREIBURG
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Mathildenstr. 1, 79106 Freiburg

An alle Mitglieder des
Muskeldystrophie Netzwerks MD-NET

Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin

Klinik II: Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen
Ärztlicher Direktor Prof. Dr. Rudolf Korinthenberg

Studienzentrale des MD-NET

PD Dr. med. J. Kirschner
Leitender Oberarzt / AG-Leiter

Tel +49 761 270-44970
Fax +49 761 270-44460

E-Mail janbernd.kirschner@uniklinik-freiburg.de

Freiburg, 11. November 2013

Update zu klinischen Studien bei Muskeldystrophie Duchenne/Becker-Kiener

Sehr geehrte Kolleginnen und Kollegen,

im Namen des Muskeldystrophie-Netzwerks MD-NET und den Kolleginnen und Kollegen an den beteiligten Prüfzentren möchte ich Sie gerne über die laufenden Studien zur Behandlung der Muskeldystrophie Duchenne informieren und Sie bitten, die Information an betroffene Patienten und Familien sowie Kollegen weiterzugeben. Weitere Details zu den Studien finden Sie auf der Seite www.md-net.org unter der Rubrik Wissenschaft / Klinische Studien.

1) Multizentrische Studie zur prophylaktischen Behandlung der Herzinsuffizienz mit ACE-Inhibitoren und Betablocker (placebo-kontrolliert)

Diese deutsche multizentrische IIT-Studie unter der Leitung von Prof. Dittrich (Pädiatrische Kardiologie Erlangen) wird vom BMBF finanziert. Es soll die klinisch sehr relevante Frage beantwortet werden, ob ein früher Therapiebeginn die Herzinsuffizienz hinauszögern kann. Nur noch bis Ende des Jahres 2013 können Patienten im Alter von 10-14 Jahren mit normaler Herzfunktion eingeschlossen werden. Es werden noch dringend Patienten benötigt um das Rekrutierungsziel zu erreichen. Es handelt sich um eine der ersten multizentrischen klinischen Studien im Bereich der Neuropädiatrie, die komplett vom BMBF finanziert wird. Ein erfolgreicher Abschluss ist deshalb sehr bedeutend und hat sicher auch Signalwirkung für weitere Anträge bei anderen Indikationen. Eine Liste der Studienzentren finden Sie unter http://www.md-net.org/inhalt/wissenschaft_und_forschung/klinische_studien/

2) Multizentrische Studie zum Vergleich verschiedener Kortison-Schemata zur Behandlung der Muskeldystrophie Duchenne (FOR-DMD)

Es handelt sich um eine internationale doppelblinde Studie, die vom NIH finanziert wird. In fünf Ländern werden 300 steroid-naive Patienten im Alter von 4-7 Jahren in drei Arme randomisiert (täglich Prednison, täglich Deflazacort, intermittierend Prednison) und mehrere Jahre beobachtet. Die Rekrutierung hat im Oktober 2013 begonnen. Studienzentren in Deutschland sind Dresden, Essen, Freiburg, Gießen Göttingen und München.

- 3) Multizentrische placebo-kontrollierte Studie zur Behandlung der Muskeldystrophie Duchenne mit Tadalafil
Es gibt einige Hinweise aus präklinischen und klinischen Untersuchungen, dass die pathologischen Veränderungen der Muskulatur durch die Gabe von Tadalafil reduziert werden können. Dies soll nun in einer internationalen Phase III Studie bei Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne untersucht werden. Eingeschlossen werden gehfähige Patienten zwischen 7 und 14 Jahren, die bereits seit mindestens 6 Monaten Kortison einnehmen. Die Rekrutierung beginnt im November 2013. Studienzentren in Deutschland sind Dresden, Essen, Freiburg, Göttingen und München.
- 4) Multizentrische placebo-kontrollierte Studie zur Behandlung der Muskeldystrophie Duchenne mit prämaturom Stoppcodon mit Ataluren©
Die Studie soll klären, ob die Therapie mit dem oralen Medikament Ataluren© zu einer Verbesserung der Gehfähigkeit führt. Eingeschlossen werden gehfähige Patienten im Alter von 7-16 Jahren, die bereits seit mindestens 6 Monaten Kortison nehmen. Diese Therapie ist mutationspezifisch und nur für Patienten mit prämaturom Stoppcodon geeignet. Studienzentren in Deutschland sind Essen und Freiburg.
- 5) Update zum Exonskipping 51 mit dem Präparat Drisapersone© der Firmen Pro-sensa/GlaxoSmithKline
Eine kürzlich ausgewertete Phase III Studie konnte im Vergleich zu Placebo keine Verbesserung der Gehfähigkeit nach einem Jahr Behandlung nachweisen. Die Behandlung wurde deshalb bei den Studienpatienten vorerst beendet. Andere Präparate zum Exonskipping befinden sich noch in der präklinischen oder klinischen Entwicklung.
- 6) Placebo-kontrollierte Studien mit Metformin und L-Citrullin (DMD/BMD)
Das Universitätskinderhospital beider Basel (UKBB) führt zwei Studien für gehfähige Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne bzw. Becker-Kiener im Alter von 7-10 bzw. ab 18 Jahren durch. In einer unkontrollierten Pilotstudie für Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne über 16 Wochen mit L-Arginin und Metformin verbesserte sich die 2 min Gehstrecke von durchschnittlich 149,2 auf 159,2 Meter und die Muskelfunktion des physiotherapeutischen MFM Gesamtwertes von 81 auf 84,6%. Dies soll jetzt in einer placebo-kontrollierten Studie überprüft werden.

Ich hoffe, diese Informationen sind hilfreich, damit Sie ihre betroffenen Patienten kompetent beraten können. Für Rückfragen zu den einzelnen Projekten stehen Ihnen die beteiligten Studienzentren gerne zur Verfügung.

Mit herzlichen Grüßen



PD Dr. Jan Kirschner
Leitender Oberarzt
Studienzentrale des MD-NET