

Therapiestudie mit Idebenone

Wir möchten Sie gerne über den Zwischenstand bei der Organisation einer Therapiestudie mit Idebenone bei Friedreich Ataxie informieren. Die Vorbereitungen für die Studie laufen auf Hochtouren, das Prüfprotokoll ist geschrieben und wird am 10.11.2005 bei einer Sitzung mit Vertretern der Prüfarzte und der Firma Santhera Pharmaceuticals (Schweiz) verabschiedet. Das Prüfprotokoll muss noch von den lokalen Ethikkommissionen und Behörden genehmigt werden. Mit einem Start ist frühestens Ende Dezember zu rechnen. In dieser Studie werden erstmals auch hohe Dosen des Medikaments eingesetzt und die Wirksamkeit auf kardiale und neurologische Parameter überprüft.

Für die jetzt geplante Studie gelten die folgenden Einschluss- bzw. Ausschlusskriterien:

Einschlusskriterien:

- Genetische Diagnose einer Friedreich Ataxie
- Alter von mindestens acht Jahren und mehr als 30 kg Körpergewicht
- Hypertrophische Kardiomyopathie (Herzbeteiligung)

Ausschlusskriterien:

- Behandlung mit Idebenone in den letzten sechs Monaten
- Behandlung mit Coenzym Q10 in den letzten drei Monaten
- Schwangerschaft
- Metallimplantate, die die Teilnahme an einer Kernspintomographiestudie verhindern

Studienprotokoll:

Teilnehmende Patienten werden einer von vier Behandlungsgruppen zugeteilt und erhalten entweder Placebo oder Idebenone in den Tagesdosen 360 mg, 900 mg oder 2250 mg für Patienten über 45 kg, bzw. 180 mg, 450 mg oder 1350 mg pro Tag für Patienten unter 45 kg Körpergewicht.

Zeitlicher Verlauf:

12 Monate

Im Wesentlichen werden Patienten mit einer Kardiomyopathie gesucht, die mindestens acht Jahre alt sind. Die Kardiomyopathie wurde als Endpunkt gewählt, da es hier die meisten positiven Berichte gibt. Zusätzlich werden potentielle neurologische Verbesserungen mit mehreren nicht-invasiven Testverfahren untersucht.

Bisher sind folgende Studienzentren geplant:

- Universität Göttingen, Abt. für Neurodegeneration und Neurorestaurationsforschung (Prof. Schulz)
- Universität Tübingen, Abt. Neurologie mit Schwerpunkt neurodegenerative Erkrankungen (Prof. Schöls)
- Universität Bonn, Neurologische Klinik (Prof. Klockgether)
- LMU München, Neurologische Klinik (Prof. Klopstock)
- Universität Hamburg, Neuropädiatrie (Prof. Kohlschütter)
- Universität Freiburg, Neuropädiatrie (Prof. Korinthenberg).

Bei Interesse an einer Teilnahme und für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an das GeNeMove-Netzwerksekretariat:

Tel: 0551 / 39-13545

E-mail: chandsc@gwdg.de

www.genemove.de