

IB1001-202 KLINISCHE STUDIE

Wirkung von N-Acetyl-L-Leucin auf GM2-Gangliosidose
(Morbus Tay-Sachs und Morbus Sandhoff): Eine multinationale,
multizentrische, offene, Bewerter-verblindete
Studie der Phase-II.

Informationen für europäische Prüfzentren

Studie IB1001-202 ist eine multinationale, offene, beurteilerverblindete Studie der Phase II, in der IB1001 zur Behandlung der GM2 Gangliosidose (Morbus Tay-Sachs und Morbus Sandhoff) untersucht wird.

GM2 ist eine seltene, erbliche lysosomale Speicherkrankheit ("Orphan-Krankheit"), die zu fortschreitender Neurodegeneration führt und für deren Behandlung es gegenwärtig nur begrenzte medizinische Therapien gibt.

Was ist der Zweck der Studie IB1001-202?

- Ziel der Studie IB1001-202 ist es zu zeigen, dass IB1001 wirksam ist und die Symptome, Funktionsfähigkeit und Lebensqualität von Patienten mit GM2 nach einer Behandlungsdauer von sechs (6) Wochen verbessert.
- Die Studie ist außerdem darauf ausgelegt, die Sicherheit und Verträglichkeit von IB1001 nachzuweisen.

Was ist IB1001?

- IB1001 ist eine modifizierte Aminosäure namens N-Acetyl-L-Leucin, die oral in Form eines Getränks einzunehmen ist.
- N-Acetyl-L-Leucin wurde bereits in einer anderen Darreichungsform (gleiche Zusammensetzung, anderer Applikationsweg) an 192 Patienten mit Schwindelanfällen (Vertigo) und 67 gesunden Freiwilligen untersucht.
- Die bisher gesammelten Daten zeigen, dass das Arzneimittel gut verträglich ist und ein gutes Sicherheitsprofil aufweist.

Was sollten Patienten und Betreuende über die Studie wissen?

- Die Studie vergleicht die Symptome der Patienten vor Behandlungsbeginn (Baseline), nach sechs (6) Wochen Behandlung mit IB1001 und nach weiteren sechs (6) Wochen ohne IB1001 (Auswaschzeitraum).
- In dieser Studie gibt es keine Placebo-Gruppe. Alle Patienten, die an dieser Studie teilnehmen, werden mit IB1001 behandelt.
- Nach Abschluss dieser Studie ist eine optionale Roll-over-Studie geplant, in deren Rahmen die Patienten ein Jahr lang mit IB1001 behandelt werden.

Für wen ist diese Studie geeignet?

Die letztendliche Entscheidung, ob die Studie für einen Patienten geeignet ist, obliegt dem Hauptprüfer am jeweiligen Prüfzentrum. Die Studie kommt für europäische Patienten infrage, wenn:

- sie mindestens 6 Jahre alt sind
- für sie eine bestätigte GM2-Diagnose vorliegt
- sie keines der unzulässigen Medikamente („verbotene“ Medikamente wie Tanganil®) anwenden oder einverstanden sind, die Anwendung sechs (6) Wochen vor Beginn der Besuchstermine und für die gesamte Studiendauer abzusetzen
- Vollständige Einschlusskriterien siehe clinicaltrials.gov (NCT 03759665)

Wie lange dauert die Studie?

- Patienten nehmen etwa 3 -4 Monate an dieser Studie teil.
- Insgesamt sind während der Studie bis zu 6 Besuchstermine im Prüfzentrum zu absolvieren.
- Wenn Patienten beim ersten Besuchstermin im Prüfzentrum eines der unzulässigen Medikamente („verbotene Medikamente“) anwenden bzw. innerhalb der letzten sechs (6) Wochen angewendet haben, müssen sie einen zusätzlichen Besuchstermin wahrnehmen, sodass insgesamt 7 Besuchstermine für diese Studie zu absolvieren sind.

Welche Untersuchungen werden im Rahmen der Studie durchgeführt?

- Die Patienten werden gebeten, standardisierte Verfahren durchzuführen, mit denen GM2-Symptome wie Ataxie gemessen werden. Zu diesen Verfahren gehören validierte Skalen zur Funktionsfähigkeit wie SARA (Scale for the Assessment and Rating of Ataxia) und SCAFI (Spinocerebellar Ataxia Functional Index).
- Patienten und ihre Familien/Betreuenden werden gebeten, Fragebögen zur Lebensqualität auszufüllen.
- Es werden Videoaufnahmen von den Patienten beim Gehen und beim Einsatz ihrer Hände gemacht.
- Es werden keine invasiven Biomarker untersucht. Es sind nur wenige Blutentnahmen und Urinproben erforderlich, um Routine-Labortests zur klinischen Sicherheit und eingeschränktes PK-Sampling durchzuführen

Was sind die Vor- und Nachteile einer Studienteilnahme?

Die Studie ist vertraulich.

- Patientendaten sowie die Teilnahme sind vertraulich. In keinem der Berichte sind Namen oder personenbezogene Daten der Patienten enthalten.

Die Studie ist kostenlos.

- Die Patienten erhalten für einige der Auslagen im Zusammenhang mit dieser Studie (wie Reisekosten oder Parkgebühren) eine Entschädigung.

Die Studie trägt zum wissenschaftlichen Verständnis der GM2 bei.

- Die Teilnahme an der Studie mehrt die wissenschaftlichen Erkenntnisse über GM2 und kann die Behandlung von GM2-Patienten unterstützen. Jedoch haben Patienten, die an der Studie teilnehmen, nicht unbedingt einen eindeutigen persönlichen Vorteil durch die Teilnahme.

Die Studie ist optional.

- Die Teilnahme an der Studie ist völlig freiwillig.
- Die Patienten können jederzeit entscheiden, ihre Teilnahme an der Studie umgehend zu beenden. Ihre übliche medizinische Versorgung ist davon nicht betroffen.

Die Studie ist mit möglichen Risiken verbunden.

- Jede klinische Studie ist mit Risiken verbunden, und auch die Teilnahme an dieser Studie kann Risiken haben.
- Der Prüfarzt klärt über die speziellen Risiken dieser Studie auf und erläutert mögliche Alternativen. Es ist wichtig, dass die Patienten, ihre Familien bzw. die Betreuenden alle Fragen stellen, die sie haben.



Geplante Prüfzentren

Siehe Landkarte und folgende Liste:

DEUTSCHLAND

Ludwig-Maximilians-Universität München
PI: Prof. Dr. Susanne A Schneider, MD
Susanne.Schneider@med.uni-muenchen.de

Univ.-Klinikum Giessen
Prof. Dr. Andreas Hahn, MD
Andreas.Hahn@paediat.med.uni-giessen.de

SPANIEN

Hospital Universitari de Bellvitge
PI: Dr Jordi Gascon Bayarri, MD
jordigneuro@bellvitgehospital.cat

VEREINIGTES KÖNIGREICH
Salford Royal NHS Foundation Trust
PI: Dr Reena Sharma, MD
Reena.Sharma@srft.nhs.uk

Royal Manchester Children's Hospital
PI: Dr Simon Jones, MD
Genetics.research@mft.nhs.uk

Weitere Informationen über IB1001-202 finden Sie unter clinicaltrials.gov (NCT 03759665).

Weitere Informationen über die GM2-Gangliosidose

