



Aufruf zur Studienteilnahme



Klinische Studie zur vorbeugenden Behandlung der Herzschwäche bei Muskeldystrophie Duchenne „DMD-Kardio“

Liebe Eltern, liebe Patienten, liebe Kollegen,

die Muskeldystrophie Duchenne (DMD) ist eine seltene, schwer verlaufende Erbkrankheit, die bereits im frühen Kindesalter zunächst die Muskulatur und später auch das Herz bzw. den Herzmuskel befällt. Zusätzlich zu der allgemeinen Muskelschwäche entwickeln die meisten Patienten deshalb im Jugendalter eine Herzschwäche (dilatative Kardiomyopathie). Es gibt Medikamente, die das Fortschreiten dieser Herzschwäche verzögern können. Bisher werden diese Medikamente empfohlen, wenn man bereits im Ultraschall eine Herzschwäche nachweisen kann. Es ist aber denkbar, dass es sinnvoll ist, diese Medikamente schon früher zu geben, damit die Herzschwäche überhaupt erst später auftritt.

Um das zu prüfen hat das **Muskeldystrophie-Netzwerk (MD-NET)** gemeinsam mit dem **Kompetenznetz Angeborene Herzfehler** eine klinische Studie geplant. Die Studie „**DMD-Kardio**“ wird vom Bundesministerium für Bildung und Forschung gefördert und soll wichtige Fragen zur Behandlung der Herzschwäche bei Muskeldystrophie Duchenne beantworten. Neuropädiater und Kardiologen arbeiten in dieser Studie sehr eng zusammen und betreuen Ihr Kind gemeinsam. Die Studie wird an vielen verschiedenen Zentren in ganz Deutschland durchgeführt.

Die in der Studie verwendeten Medikamente Enalapril (ACE-Hemmer) und Metoprolol-succinat (Beta-Blocker) sind bereits bekannte und seit vielen Jahren zugelassene Medikamente, die sich bei Herzerkrankungen im Erwachsenenalter als auch schon bei chronisch herzkranken Kindern erfolgreich bewährt haben.

Während einer Gesamtstudiendauer von max. 6 Jahren werden deutschlandweit insgesamt 130 Kinder im Alter von 10-14 Jahren gesucht, die an dieser Studie teilnehmen. Als wichtigstes Aufnahmekriterium für die Studie zählt neben der Diagnose „Muskeldystrophie Duchenne“, dass der Herzmuskel durch die Erkrankung noch nicht vorgeschädigt ist; dies wird vorab in einer Ultraschalluntersuchung des Herzens festgestellt.

Aus wissenschaftlichen Gründen und damit gezielte Aussagen zur Wirksamkeit der eingesetzten Medikamente gemacht werden können, wird neben der Studienmedikation (=Verum) ein Scheinmedikament (= Placebo) als Vergleichspräparat eingesetzt.

Per Zufallsprinzip wird ermittelt, welches Medikament ihr Kind erhält und dieses Medikament wird dann bis zum Studienende verblindet gegeben, d.h. weder Arzt noch Patient wissen, in welchem Arm (Verum oder Placebo) das Kind behandelt wird.

In der Anfangsphase der Studie sind etwas häufigere Untersuchungen (alle 4 Wochen) am Studienzentrum erforderlich. Wenn die Medikamente nach einiger Zeit gut eingestellt sind, erfolgen die Kontrollen alle sechs Monate bis im Ultraschall eine Herzschwäche festgestellt wird oder bis zum Ende der Studie.

Die teilnehmenden Studienzentren sind allesamt studien erfahren, fachkompetent und betreuen Ihr Kind während der Studienteilnahme intensiv. Ihr Kind ist während der Studienteilnahme versichert und erhält außerdem einen Studenausweis mit einer Notfallnummer.

Zusammengefasst die Voraussetzungen für eine Studienteilnahme:

- Diagnose Muskeldystrophie Duchenne
- Alter zwischen 10-14 Jahren
- Keine zeitgleiche Teilnahme an einer anderen Studie
- Keine Vorbehandlung mit den Studienmedikamenten in den letzten 3 Monaten
- Keine Vorschädigung des Herzmuskels
- Regelmäßige ambulante Kontrollbesuche am Studienzentrum
- Zuverlässige Einnahme der Studienmedikation

Studienleiter der DMD-Kardio Studie ist Prof. Sven Dittrich, Universitätsklinikum Erlangen, Kinderkardiologische Abteilung. Verantwortlich von Seiten des MD-NET ist Dr. Janbernd Kirschner, Klinik Neuropädiatrie und Muskelkrankheiten am Universitätsklinikum Freiburg.

Weitere Details und Hinweise zur Studie und den **teilnehmenden Studienzentren** erhalten Sie im Internet unter www.md-net.org im Abschnitt Klinische Studien oder unter folgender Kontaktadresse:

Frau Verena Greim
Medizinische Studienkoordination
Kinderkardiologische Abteilung der Kinder- und Jugendklinik
Loschgestraße 15
91054 Erlangen
Tel: 09131/85 41217

ke-dmd@uk-erlangen.de oder zks-dmd-kardio@uniklinik-freiburg.de

Bitte informieren Sie auch weitere betroffene Familien über die Möglichkeit zur Teilnahme an der DMD-Kardio Studie für Kinder mit Muskeldystrophie Duchenne. So helfen Sie mit, dass es vielleicht bald neue Therapiemöglichkeiten für diese seltene Erkrankung gibt!