



Ergebnisse der MD-NET Studie zur Immunsuppressiven Therapie der Muskeldystrophie Duchenne mit Cyclosporin A (DMD-CsA)

Das Muskeldystrophie-Netzwerk (MD-NET) ist ein vom BMBF geförderter Forschungsverbund für neuromuskuläre Erkrankungen. Im Rahmen dieses Netzwerkes wurde unter der Leitung der Klinik Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen am Universitätsklinikum Freiburg eine multizentrische plazebo-kontrollierte doppelt-blinde Studie zum Effekt von Cyclosporin A bei Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne durchgeführt. An den 11 teilnehmenden Zentren in Deutschland, Österreich und der Schweiz nahmen insgesamt 153 gehfähige Patienten an der Studie teil. Zunächst erhielten die Patienten über einen Zeitraum von drei Monaten Cyclosporin A (3,5-4 mg/kg Körpergewicht) oder Plazebo. Danach wurden alle Patienten zusätzlich für zwölf Monate mit intermittierendem Kortison (0,75 mg/kg Körpergewicht Prednison, jeweils 10 Tage mit anschließender 10tägiger Pause) behandelt.

Erste Auswertungen der jetzt abgeschlossenen Studien zeigen, dass die Behandlung mit Cyclosporin A von den Patienten gut vertragen wurde. In der behandelten Gruppe traten nicht mehr Nebenwirkungen auf als in der Plazebogruppe. Allerdings wurde der Krankheitsverlauf durch die Gabe von Cyclosporin A nicht beeinflusst. Die Gabe von Cyclosporin A – alleine oder in Kombination mit Kortison – scheint somit bei Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne nicht effektiv zu sein. Nach Abschluss der Auswertungen werden die Ergebnisse in einer wissenschaftlichen Fachzeitung veröffentlicht werden.

Bei dieser Studie handelt es sich um die weltweit größte bisher durchgeführte kontrollierte Studie bei Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne. Die erfolgreiche Durchführung war nur durch die engagierte Zusammenarbeit der betroffenen Familien, Selbsthilfegruppen, Ärzte, Krankengymnasten und vielen anderen beteiligten Personen möglich. Auch wenn sich aus der Studie keine direkten neuen therapeutischen Möglichkeiten ergeben, zeigt diese Studie, dass es möglich ist die Wirksamkeit neuer Therapieansätze auch bei seltenen Erkrankungen wie der Muskeldystrophie Duchenne sicher und zuverlässig zu prüfen.

Ohne die finanzielle und materielle Unterstützung durch das Bundesministerium für Bildung und Forschung, die Aktion Benni & co, Novartis Pharma und der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke wäre die Durchführung der Studie nicht möglich gewesen.

Mit einem herzlichen Dankeschön an alle Beteiligten
und in Vorfreude auf eine weiterhin gute Zusammenarbeit

Freiburg, im Oktober 2008

Prof. Dr. med. R. Korinthenberg

Dr. med. J. Kirschner

Für weitere Informationen: janbernd.kirschner@uniklinik-freiburg.de