

PTC124 für Muskeldystrophie Typ Duchenne und Becker (DMD/BMD) aufgrund einer Nonsense-Mutation

Die Firma PTC hat eine klinische Phase-2b-Studie zu dem Medikament PTC124 bei Duchenne und Beckermuskeldystrophie (DMD/BMD) eingeleitet. Bei dieser Studie handelt es sich um eine multizentrische, randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Studie zur Bestimmung, ob PTC124 die Gehfähigkeit, Aktivität, Muskelfunktion und Stärke verbessern und ob das Medikament über einen langen Zeitraum hinweg sicher verabreicht werden kann.

Das Medikament PTC124 kann nur bei einer speziellen Gruppe von DMD/BMD Patienten eingesetzt werden, bei denen die Erkrankung durch eine Nonsense-Mutation (frühzeitige Stopp-Mutation) verursacht wird. Das Vorhandensein einer Nonsense-Mutation kann durch einen DNA-Bluttest, eine so genannte Sequenzanalyse oder Gensequenzierung in voller Länge bestätigt werden. Weitere Informationen zur Gensequenzierung finden Sie im Dokument „Häufig gestellte Fragen“. Studienteilnehmer müssen mindestens 5 Jahre alt sein und für eine Dauer von 6 Minuten ohne Hilfe mindestens 75 Meter weit gehen können. Weitere Einschlusskriterien werden vor der Aufnahme in die Studie erklärt.

Die Studie wird an ca. 38 Prüfzentren auf 4 Kontinenten durchgeführt. Nachdem die Prüfzentren zur Aufnahme von Patienten bereit sind, werden die Kontaktinformationen für die Prüfzentren unter www.clinicaltrials.gov veröffentlicht (Suchbegriff: PTC124). In Deutschland findet die Studie an folgenden Prüfzentren statt. Diese Zentren können auch Patienten aus Österreich und der Schweiz behandeln:

PD Dr. U. Schara (Prüfärztin)
Universitätsklinikum Essen

Kontakt:

Frau Bärbel Leiendecker
Pädiatrische Neurologie
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin
Hufelandstr. 55, 45122 Essen
Tel. 0201 / 723 2508
Fax 0201 / 723 5389
E-mail: baerbel.leiendecker@uk-essen.de

Dr. J. Kirschner (Prüfarzt)
Universitätsklinikum Freiburg

Kontakt:

Frau Ursula Wein
Klinik II: Neuropädiatrie und
Muskelkrankungen
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin
Mathildenstr. 1, 79106 Freiburg
Tel. 0761 / 270 4315
Fax 0761 / 270 4475
E-mail: ursula.wein@uniklinik-freiburg.de

Teilnahme von potenziellen Patienten an der Phase-2b-Studie zu DMD/BMD

Jedes Prüfzentrum evaluiert die Patienten und bestimmt die Eignung für eine Teilnahme aufgrund der genehmigten Eignungskriterien für die Studie. Die Prüfzentren können direkt hinsichtlich der Studienteilnahme kontaktiert werden.

PTC versendet per E-Mail neueste Informationen über unsere Studien sowie andere Neuigkeiten zu PTC. Um in die Mailingliste aufgenommen zu werden, gehen Sie zu „Contact Us“ auf unserer Website und markieren Sie „receive PTC updates“ (PTC-Nachrichten abonnieren).