

Studie mit L-Citrullin und Metformin bei Kindern mit Muskeldystrophie Duchenne

Das Universitätskinderspital beider Basel (UKBB) führt eine placebokontrollierte Studie mit zwei Medikamenten (Metformin und L-Citrullin) durch, und sucht hierzu gefähige Patienten im Alter von 7-10 Jahre, die unter Muskeldystrophie Duchenne leiden. Die Studie dauert 26 Wochen und beinhaltet 3 Studienvisiten.

Das Ziel dieser Studie ist es zu zeigen, dass die Einnahme der Studienmedikation (Metformin und L-Citrullin) im Vergleich zu Placebo (=Medikamente ohne medizinischem Wirkstoff) zu einer Verbesserung der Muskelkraft und der Gehstrecke bei Patienten mit Muskeldystrophie vom Typ Duchenne führt.

Vorangegangene Untersuchungen am UKBB haben gezeigt, dass bei Behandlung mit der Kombination der Arginin und Metformin Wirkstoffe eine Verbesserung der 2min-Gehstrecke von rund 10m bei Duchenne Patienten beobachtet wurde. Nebenwirkungen der beiden Medikamente wurden keine beobachtet. Aufgrund neuerer Daten ist von einer verbesserten Wirksamkeit der Argininvorstufe Citrullin gegenüber Arginin selbst auszugehen. Wir haben daher in einer Folgestudie 7 Patienten mit Muskeldystrophie Becker (mit Citrullin und Metformin) behandelt und alle haben deutliche Verbesserungen der Gehstrecke (durchschnittlich 114 Meter bzw. 74 %) gezeigt (Abb. 1). Diese erfreulichen Resultate soll nun durch die Behandlung an mehr Kindern bestätigt werden.

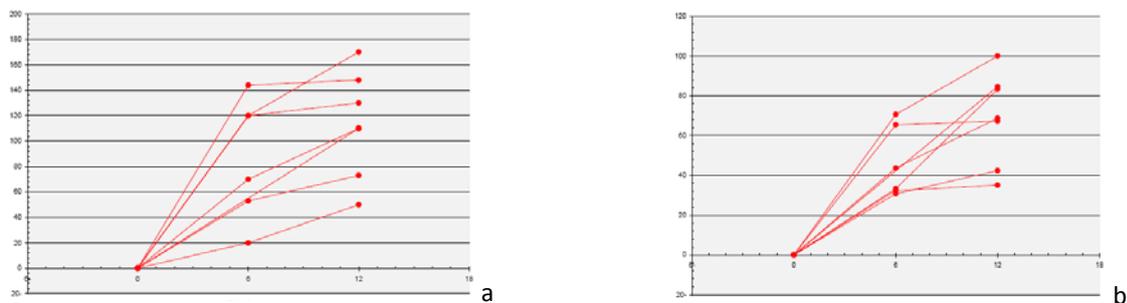


Abb 1.: Dargestellt wird die Zunahme der Gehstrecke in Meter (a) bzw. in Prozent (b) der einzelnen Patienten mit Muskeldystrophie Becker nach 12 Wochen Behandlung mit Citrullin und Metformin

An den Studienvisiten werden körperliche und physiotherapeutische Untersuchungen, eine Muskelbildgebung mittels MRI und Blutentnahmen (3 mal ca. 25 ml) durchgeführt. Zudem werden Urinproben genommen. Anschliessend erhalten die teilnehmenden Patienten die Studienmedikation oder Placebo. Genaue Angaben zum vorgeschlagenen Studienprojekt und den gesamten Ablauf entnehmen Sie in der Information für Eltern und Teilnehmer/innen.

Ihr Kind müsste für diese Studie nach Basel ins Universitätskinderspital beider Basel gehen, da die Studie nur dort durchgeführt wird. Ihr Kind bleibt aber während und nach dieser Studie bei Ihrem Arzt/Ihrer Ärztin in Behandlung. Der/die behandelnde Arzt/Ärztin Ihres Kindes wird über den Studienablauf und die Resultate sowie über das Befinden oder die Fortschritte Ihres Kindes informiert werden.

Die erwähnten Untersuchungen bzw. Studienmedikamente sind kostenlos. Weder Ihnen noch Ihrer Krankenkasse entstehen im Zusammenhang mit der Teilnahme zusätzliche Kosten. Falls notwendig, kann für auswärtige Patienten eine kostenlose Übernachtung der Patienten und Angehörigen im Ronald McDonald Haus Basel, dem Elternhaus beim Universitäts-Kinderspital beider Basel, organisiert werden. Die Reisespesen für das Kind sowie eine Begleitperson können leider nicht erstattet werden.

Sollten Sie sich entscheiden, mit Ihrem Kind an dieser Studie in Basel teilzunehmen, wird Ihnen Ihrer Arzt / Ihre Ärztin weitere Informationen geben. Sie können sich auch direkt mit der Studienärztin, Frau Dr. Ulirike Bonati, am UKBB in Verbindung setzen.

Kontakt am Universitätskinderspital beider Basel:

Frau Dr. Ulrike Bonati
 Assistenzärztin Neuropädiatrie
 UKBB, 4005 Basel
 Tel.: 061 704 12 12
 e-mail: ulrike.bonati@ukbb.ch

Name und Kontaktangaben des zuständigen Arztes / der zuständigen Ärztin:

.....

