

DMD-Kardio Studie Newsletter

Informationen zum Stand der DMD-Kardio-Studie

Ausgabe 4 / April 2011



Dieser Newsletter erscheint etwa alle 3 Monate oder bei besonderen Anlässen nach Bedarf auch öfter!

Dies ist die 4. Ausgabe.

Inhalt dieser Ausgabe

Allgemeine Informationen/ Kongress in Ohio	1
Pharmakovigilanz/neues SAE Formular.....	1
Aktueller Stand der Studie.....	1
Gut zu wissen/Neuerungen im eCRF	1
Prüfartzfragen aus den Zentren	2
Zu guter Letzt.....	2
Anhang.....	3

Allgemeine Informationen/ Kongress in Ohio

Am 21. und 22. Januar 2011 fand am Nationwide Children's Hospital in Columbus (Ohio) ein Workshop zum Thema „Kardiomyopathie bei Muskeldystrophie Duchenne“ statt, zu dem Experten aus den USA und Europa eingeladen wurden. Themen wie die pathophysiologischen und genetischen Grundlagen der Kardiomyopathie, bildgebende Verfahren sowie therapeutische und prophylaktische Maßnahmen wurden diskutiert. Die DMD-Kardio-Studie wurde von Frau Dr. Greim vorgestellt. Weiterhin ist diese Studie von internationalem Interesse, da es in den letzten Jahren keine neuen Erkenntnisse aus doppelblinden, placebokontrollierten Studien zum Nutzen einer prophylaktischen Behandlung der Kardiomyopathie bei DMD gab. Auch in welchem Alter man eine Behandlung beginnen sollte, ist weiter unklar. In Zukunft sollen regelmäßige Treffen stattfinden.

Pharmakovigilanz/neues SAE Formular

Alle meldepflichtigen sicherheitsrelevanten Aspekte werden ab jetzt neu in unserer Studie elektronisch über das e-SafetyNet dokumentiert. Dieses Tool enthält alle Angaben nach E2B, wird in englischer Sprache geführt und ist üblicherweise Standard für alle AMG-pflichtige Studien. Aus diesem Grund soll künftig ein neues **SAE-Formular in Englisch** verwendet werden. Dieses neue Formular wird gerade erstellt und später an alle Zentren über die Monitore verteilt, bzw. ist dann auch per Download über das eCRF

verfügbar. Den Zeitpunkt der Umstellung werden wir Ihnen noch bekannt geben. Solange benutzen Sie bitte das vorliegende deutsche Formular und melden alle SAE- Fälle innerhalb von 24 h, wie im Prüfplan beschrieben.

Aktueller Stand der Studie

Anbei finden Sie eine **aktuelle Übersicht** über die Zentren und die eingeschlossenen/laufenden Patienten.

Zentrumsnummer	Prüfzentrum	Initiiert	Anzahl Patienten	
			in R1-R4	Rando-misiert
01	Erlangen (LKP)	ja	0	5
02	Freiburg	ja	1	2
03	Homburg/Saar	ja	0	-
04	München	ja	0	2
05	Dresden	ja	0	3
08	Berlin	ja	0	-
10	Oldenburg	ja	0	-
11	Göttingen	ja	1	-
12	Essen	ja	1	3
13	Heidelberg	ja	0	-
09	Münster	Nein, EK Votum liegt vor		
Zentren in Planung				
06	Gießen	Pre-study visit geplant		

Gut zu wissen/Neuerungen im eCRF

Im eCRF stehen einige Neuerungen/ Erweiterungen bestehender Formulare an.

Es betrifft folgende Formulare:

1) Telefonkontakt und Medikationsbestellung:

Hier wird es künftig eine Erweiterung zur Medikationsbestellung für die verblindete Phase geben. Die Zentren faxen das Telefonkontaktformular ausgefüllt mit allen Angaben für die Bestellung zur Apotheke. Diese gibt dann eine zeitnahe Rückmeldung, zu welchem Termin die Lieferung der Medikation stattfinden wird. Das bisherige Formular im ISF („Prüfpräparate Anforderung und Versand – verblindete Phase“) entfällt damit. Die Anforderung für die Starterpakete bleibt wie bisher.

2) Zusatzvisiten / außerplanmäßig: neues Formular im e-CRF

Patienten, die sich bereits in der verblindeten Phase befinden und zwischen den halbjährlichen Visiten die Gewichtsklasse ändern, müssen neu auf die Prüfsubstanz eingestellt werden. Dazu findet ein außerplanmäßiger Besuch am Zentrum statt.

Die Dokumentation der außerplanmäßigen/ Zusatzvisiten soll wie folgt vorgenommen werden: War der Patient z.B. zu V2 am Prüfzentrum und zwischen der nächsten geplanten Visite V3 erfolgte eine Zusatzvisite, wird diese als V2a dokumentiert. Zusatzvisiten können auch aus medizinischer Indikation stattfinden, z.B. im Falle von AE's erfolgen.

3) Follow- Up:

Auch wenn der Patient frühzeitig die Studienmedikation abbricht bzw. den Studienendpunkt erreicht, ist ein einmaliges Follow-up verpflichtend zur Sicherheit des Patienten. Aus wissenschaftlichen Gründen sind jedoch besonders auch die weiteren kardiologischen Nachbeobachtungen über einen längeren Zeitraum hinaus interessant, da es über den Verlauf bei DMD bisher noch zu wenig Langzeitdaten im Rahmen von Studien gibt. Weitere Follow-up Visiten sind somit wünschenswert und werden dokumentiert bzw. im eCRF geführt als FU 1, FU 2, FU 3, etc.

Prüfarztfragen aus den Zentren

Wie ist das Min- Max Thermometer abzulesen?

Gerade in der „warmen“ Jahreszeit ist es besonders wichtig, dass die Lagerungsbedingungen für die Prüfsubstanz eingehalten werden, dazu sollte jedoch sichergestellt sein, dass das Min- Max Thermometer auch korrekt abgelesen wird. Mehrfach wurde über die Monitore kommuniziert, dass manche Zentren Schwierigkeiten in der Handhabung dieser Thermometer haben.

Daher ist im Anhang eine kurze Bedienungsanleitung zur korrekten Ablesung zu finden. Die Bedienungsanleitung sollte im ISF abgelegt werden.

Was passiert mit der unverbrauchten/ vom Patienten zurückgebrachten Prüfmedikation ?

Das Prüfzentrum lagert zunächst alle vom Patienten zurückgebrachten Medikamente. Bereits bei der Medikationsausgabe sollte beschriftet sein, für welchen

Patienten und für welche Visite die Medikation vorgesehen war. Der Monitor führt dann den sog. „drug account“ durch, d.h. er bilanziert die pro Patient ausgegebene versus die vom Patienten zurückgebrachte Prüfmedikation. Durch diesen Vorgang soll überprüft werden, ob 1) der Patient die Medikation korrekt eingenommen hat und 2) die Prüfmedikation vom Prüfzentrum korrekt an den Patienten ausgegeben wurde.

Erst nachdem der Monitor diesen Vorgang abgeschlossen und die Restmedikation zur Vernichtung /Rücksendung freigegeben hat, wird die Ware aus der verblindeten Phase / Phase 2 an die Apotheke nach Erlangen über TNT zurückgeschickt. Die Abwicklung (Termin zur Abholung) erfolgt zentral über die Studienzentrale in Erlangen. Sie werden von der Studienzentrale über den Abholungstermin informiert – dieser Termin wird weitestgehend so koordiniert sein, dass die Laborproben für das Zentrallabor (neuroendokrine Parameter) zeitgleich von TNT abgeholt werden.

Zu guter Letzt....

Aufgrund der zögerlichen Rekrutierung im letzten Jahr und weil die Zahl der Patienten in dem DMD Register (www.dmd-register.de) ständig steigt, wurde nochmals ein Rekrutierungsauftrag über das MD-NET Register an alle möglicherweise geeigneten Patienten verschickt. Angeschrieben wurden alle in Frage kommenden Patienten im Alter von 10-14 Jahren, bzw. auch diejenigen, die noch 2011 das 10. Lebensjahr erreichen werden.

Wir hoffen sehr, dass sich noch einige weitere Patienten über diesen Aufruf direkt an die Zentren wenden. Es ist uns bewusst, dass klinische Studien bei Seltenen Erkrankungen wie der DMD eine Herausforderung in Bezug auf die Rekrutierung darstellen. Die Erfahrung des MD-NET zeigt aber, dass bei enger Zusammenarbeit aller beteiligten Gruppen (Kardiologen, Neuropädiater und Patientengruppen) eine erfolgreiche Studiendurchführung dennoch möglich ist. Daher geben auch Sie bitte nicht auf, nach geeigneten Patienten Ausschau zu halten!

Wir wünschen allen Zentren ein frohes Osterfest!

Der nächste Newsletter erscheint voraussichtlich im Juni/ Juli 2011.

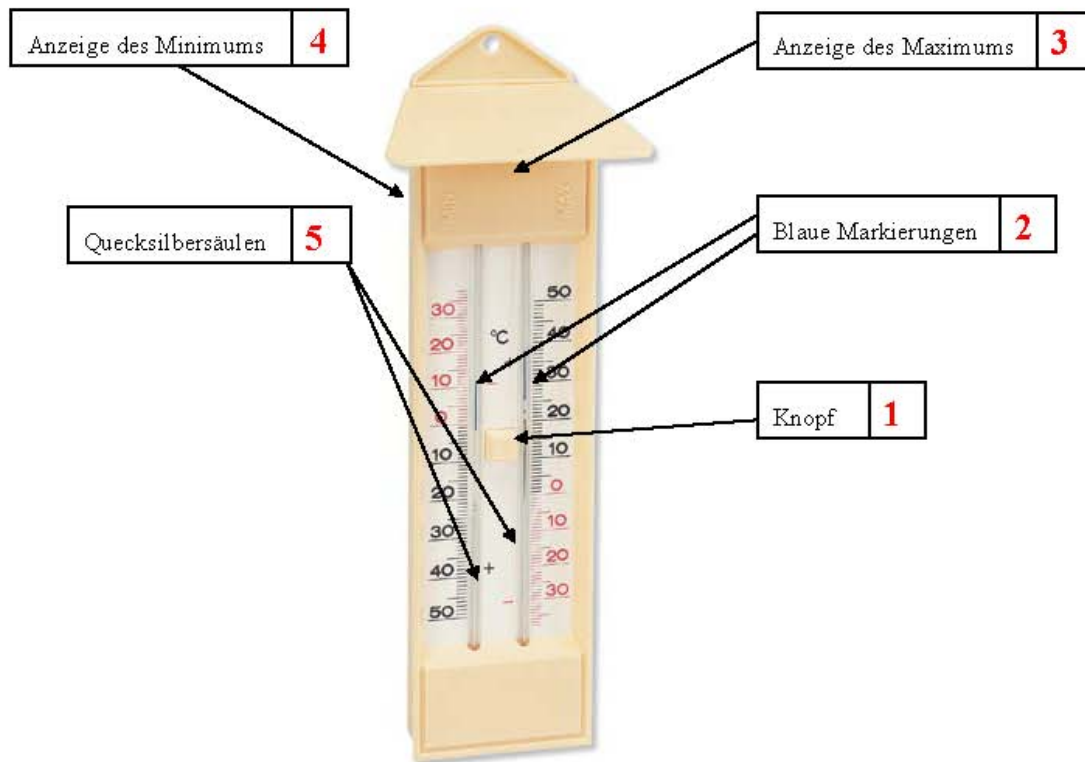
Newsletter Impressum:

Redaktionsanschrift:
Universitätsklinikum Freiburg
Studienzentrum
MD-NET Servicestruktur Klinische Studien
Elsässer Str. 2, 79110 Freiburg

Autoren dieser Ausgabe:
Dr. med. Nicola Wiechmann/Freiburg
Dr. med. Verena Greim/Erlangen
Prof. Dr. med. Sven Dittrich/Erlangen
Dr. med. Jan Kirschner/Freiburg

Bedienungsanweisung

Maxima-Minima-Thermometer



Durchführung eines Ablesevorgangs:

1. Die Temperaturschwankungen können jeweils an den Unterkanten der blauen Marken [2] abgelesen werden: Höchstwert an der rechten Skala [3]
Tiefstwert an der linken Skala [4]
2. Die aktuelle Temperatur ist an der Oberkante der Quecksilbersäule [5] abzulesen.
3. Nach dem Ablesen und Notieren der Temperaturschwankungen auf den Knopf [1] drücken und so die Markierungen [2] wieder auf die Quecksilbersäule zurückbringen.

Ergänzende Hinweise:

- Vor der 1. Anwendung: Auf Knopf [1] drücken und blaue Markierungen so auf die Quecksilbersäule bringen
- Luftblasen in den Kapillaren entweichen, wenn man das Thermometer auf die Heizung stellt
- Wenn sich die Quecksilbersäule z.B. beim Transport getrennt hat, kann sie durch kräftiges Schleudern wieder zusammengeführt werden
- Falls eine der blauen Markierung nicht zu sehen ist, drückt man beim Schleudern auf den Knopf [1] und sie erscheint wieder