

Freiburg und Bretten, 22.11.2007

Klinische Studie zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie mit Wachstumshormon

Es gab schon seit längerer Zeit Überlegungen eine Studie zur Wirksamkeit von Wachstumshormon bei der Spinalen Muskelatrophie durchzuführen. Im Januar 2008 wird die Studie jetzt unter der Leitung der Klinik Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen in Freiburg (Dr. J. Kirschner/ Prof. R. Korinthenberg) starten.

In einer kleinen Pilotstudie soll bei insgesamt 20 Patienten geprüft werden, ob die Behandlung mit Wachstumshormon zu einer Verbesserung der Muskelkraft führt. Damit man die Wirkung wirklich objektiv beurteilen kann, erfolgt die Studie Plazebo kontrolliert. Die Patienten bekommen also zunächst für drei Monate Wachstumshormon und dann für drei Monate Plazebo oder umgekehrt.

Weder der Arzt noch der Patient wissen, ob zuerst Medikament oder Plazebo gegeben wird. Am Ende wird verglichen, ob es zwischen den beiden Behandlungen einen Unterschied gibt. Die Behandlung erfolgt durch eine kleine quasi schmerzfreie Spritze, die einmal täglich benutzt wird (ähnlich wie die Gabe von Insulin bei Diabetes).

Damit die Patienten gut mitarbeiten und sich die Kraft gut messen lässt sollen Patienten mit genetisch gesicherter SMA im Alter von 6 bis 35 Jahren eingeschlossen werden. Die Kraft sollte noch ausreichend sein, um die motorischen Tests gut durchzuführen.

Die Studie wird an folgenden Zentren durchgeführt werden:

- Charite Berlin, SPZ (Dr. U. Grieben),
- Universitätskinderklinik Kiel (Prof. Stephani),
- Universitätskinderklinik Essen (Dr. U. Schara),
- Universitätskinderklinik Mainz (Prof. Reitter),
- Haunersche Kinderspital München (Prof. Müller-Felber),
- Universitätskinderklinik Freiburg (Dr. J. Kirschner).

Die Studie wird mit finanzieller Unterstützung der Firma NovoNordisk durchgeführt. Zusätzlich hat der Verein "Philipp & Freunde - SMA Deutschland e.V." umfassende finanzielle Hilfe zugesagt.

Falls Sie Interesse an dieser Studie haben, wenden Sie sich bitte an eines der genannten Studienzentren oder an die Studienzentrale in Freiburg.

Kontakt und Informationen:

Dr. med. J. Kirschner  
Funktionsoberarzt  
Facharzt für Kinderheilkunde, Schwerpunkt Neuropädiatrie  
Klinik II: Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen  
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin  
UNIVERSITÄETSKLINIKUM FREIBURG

Tel.: +49 761 270-4315 (Sekretariat) Fax -4475  
Mathildenstr. 1  
79106 Freiburg  
[Janbernd.Kirschner@uniklinik-freiburg.de](mailto:Janbernd.Kirschner@uniklinik-freiburg.de)

[www.kinderklinik.uniklinik-freiburg.de](http://www.kinderklinik.uniklinik-freiburg.de)

Novo Nordisk Pharma GmbH  
Brucknerstraße 1  
55127 Mainz  
[http://www.novonordisk.de/documents/article\\_page/document/Pat\\_HGH\\_Start.asp](http://www.novonordisk.de/documents/article_page/document/Pat_HGH_Start.asp)

Philipp & Freunde – SMA Deutschland e.V.  
Anne-Frank-Str. 78  
75015 Bretten  
Tel.: +49 7252 973 662  
[www.sma-deutschland.de](http://www.sma-deutschland.de)