



# Newsletter Klinische Studien

## ZKJ-Studienbüro

### Veröffentlichung von Studienergebnissen unter Beteiligung des ZKJ

#### **Cross-sectional seroprevalence surveys of SARS-CoV-2 antibodies in children in Germany, June 2020 to May 2021.**

Sorg AL, Bergfeld L, Jank M, Corman V, Semmler I, Görtz A, Beyerlein A, Verjans E, Wagner N, von Bernuth H, Lander F, Weil K, Hufnagel M, Spiekerkoetter U, Cho-Ming C, Nährlich L, Muntau AC, Schulze-Sturm U, Hansen G, Wetzke M, Jung AM, Niehues T, Fricke-Otto S, von Both U, Huebner J, Behrends U, Liese JG, Schwerk C, Drosten C, von Kries R, Schroten H (2022). Nature Communications 13:3128 (doi.org/10.1038/s41467-022-30482-6)

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35668073](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35668073)

**Development and Pilot Test of the Registry Evaluation and Quality Standards Tool: An Information Technology-Based Tool to Support and Review Registries.**

Allen A, Patrick H, Ruof J, Buchberger B, Varela-Lema L, [Kirschner J](#), Braune S, Roßnagel F, Giménez E, Cuscó XG, Guilhaume C.

Value Health. 2022 Mar 8:S1098-3015(22)00082-1. doi: 10.1016/j.jval.2021.12.018. Online ahead of print.

PMID: 35277336

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35277336](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35277336)

### **Effect of Different Corticosteroid Dosing Regimens on Clinical Outcomes in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial.**

Guglieri M, Bushby K, McDermott MP, Hart KA, Tawil R, Martens WB, Herr BE, McColl E, Speed C, Wilkinson J, [Kirschner J](#), King WM, Eagle M, Brown MW, Willis T, Griggs RC; FOR-DMD Investigators of the Muscle Study Group, Straub V, van Ruiten H, Childs AM, Ciafaloni E, Shieh PB, Spinty S, Maggi L, Baranello G, Butterfield RJ, Horrocks IA, Roper H, Alhaswani Z, Flanigan KM, Kuntz NL, Manzur A, Darras BT, Kang PB, Morrison L, Krzesniak-Swinarska M, Mah JK, Mongini TE, Ricci F, von der Hagen M, Finkel RS, O'Reardon K, Wicklund M, Kumar A, McDonald CM, Han JJ, Joyce N, Henricson EK, Schara-Schmidt U, Gangfuss A, Wilichowski E, Barohn RJ, Statland JM, Campbell C, Vita G, Vita GL, Howard JF Jr, Hughes I, McMillan HJ, Pegoraro E, Bello L, Burnette WB, Thangarajh M, Chang T. JAMA. 2022 Apr 19;327(15):1456-1468. doi: 10.1001/jama.2022.4315. PMID: 35381069 Clinical Trial.

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35381069](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35381069)

### **Cathepsin D as biomarker in cerebrospinal fluid of nusinersen-treated patients with spinal muscular atrophy.**

[Schorling DC](#), Kölbl H, Hentschel A, [Pechmann A](#), Meyer N, Wirth B, Rombo R; SMARtCARE consortium, Sickmann A, [Kirschner J](#), Schara-Schmidt U, [Lochmüller H](#), Roos A. Eur J Neurol. 2022 Mar 23. doi: 10.1111/ene.15331. Online ahead of print. PMID: 35318785

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35318785](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35318785)

### **Hematopoietic stem cell transplantation for adolescents and adults with inborn errors of immunity, an EBMT IEWP study.**

Albert MH, Sirait T, Eikema DJ, Bakunina K, Wehr C, Suarez F, Fox ML, Mahlaoui N, Gennery AR, Lankester AC, Beier R, Bernardo ME, Bigley V, Lindemans CA, Burns SO, Carpenter B, Dybko J, Güngör T, Hauck F, Lum SH, Balashov D, Meisel R, Moshous D, Schulz AS, [Speckmann C](#), Slatter MA, [Strahm B](#), Uckan-Cetinkaya D, Meyts I, Vallée TC, Wynn R, Neven B, Morris EC. Blood. 2022 Mar 28:blood.2022015506. doi: 10.1182/blood.2022015506. Online ahead of print. PMID: 35344580

[Link zum Artikel: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35344580](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35344580)

[Ausführlich: s. unten](#)

# Übersicht der nächsten Fortbildungen für Studienmitarbeiter am Zentrum Klinische Studien (ZKS)

<b>Grundlagen- und Aufbaukurs (früher Prüferkurs)</b>	12.10.2022 (Grundlagenkurs, Webex) 13.10.2022 (Aufbaukurs, Webex)
<b>Update-Kurs GCP (neue EU-Verordnung)</b>	Auf Nachfrage wird der Kurs ab 5 Teilnehmern angeboten.
<b>Kombinierter Grundlagen- und Aufbauergänzungskurs MPG</b>	15.11.2022 (Webex) 29./30.11.2022 (Webex)
<b>Verantwortlichkeiten eines Studienleiters (IIT)</b>	

Der Arbeitskreis medizinischer Ethikkommissionen hat seine Empfehlung reine Online-Kurse anzuerkennen zurückgezogen, deshalb bieten wir seit dem 30. Mai keine eLearning-Kurse mehr an.

Weitere Informationen unter: <https://www.uniklinik-freiburg.de/zks/fortbildungen.html>

---

## Neu begonnene Studien am ZKJ

### Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen

**ONWARD – 232SM302: Eine Langzeit-Studie mit höher dosiertem Nusinersen (BIIB058) zur Behandlung von Patienten mit Spinaler Muskelatrophie, die zuvor an einer Studie mit Nusinersen teilgenommen haben, Phase III**

Spinale Muskelatrophie, Kinder und Erwachsene ab einem Alter von 2 Jahren (Je nach Studienarm), aktiv seit 07.07.2022

Weitere Informationen: [www.clinicaltrials.gov: NCT04729907](http://www.clinicaltrials.gov: NCT04729907)

### Angeborene Herzfehler/Pädiatrische Kardiologie

## **GORE® CARDIOFORM ASD Occluder: Multizentrische sonstige klinische Prüfung nach §47 (3) MPDG zur Nachbeobachtung der Wirksamkeit und Sicherheit des GORE® CARDIOFORM ASD Occluders zum Transkatheterverschluss bei Patienten mit Vorhofseptumdefekt (ASD II)**

Perimembranöser Atriumseptumdefekt (ASD II) mit geringem oder fehlendem aortalen Randsaum, 0-99 Jahre, Körpergewicht  $\geq$  12Kg, aktiv seit 05/2022

[Weitere Informationen: www.drks.de: DRKS00027240](http://www.drks.de: DRKS00027240)

[Ausführlich: s. unten](#)

## **Pädiatrische Hämatologie und Onkologie**

### **UMBRELLA SIOP-RTSG 2016 Studie Eine prospektive klinische Studie der Arbeitsgruppe Nierentumore der Internationalen Gesellschaft für pädiatrische Onkologie, Beobachtungsstudie**

Nierentumore (Kinder, Jugendliche), Nephroblastom (Erwachsene), keine Altersbeschränkung, aktiv seit 07.07.2022

[Link zur Homepage](#)

---

## **Ausführlich beleuchtet**

### **LANDI-PED Studie: Multizentrische, Open-Label-Studie, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Landiolol bei der Kontrolle von supraventrikularen Tachykardien bei pädiatrischen Patienten (LANDI-PED) zu untersuchen, Phase III, prospektiv, offen, einarmig, aktiv seit 02/2019**

Landiolol ist ein ultrakurzwirksamer hochselektiver intravenöser  $\beta$ 1-Adrenorezeptor-Antagonist (kurz „i.v. Betablocker“), der für erwachsene Patient\*innen seit Jahren zugelassen ist und sich durch seine gute Steuerbarkeit (3-5 min Halbwertszeit) und seine hohe Kardioselektivität auszeichnet. Blutdruck und Pumpfunktion bleiben bei den Erwachsenen dabei erstaunlich stabil. Um eine Kinderzulassung bei der EMA zu erwirken nehmen wir an der LANDI-PED Studie teil. Geplant ist der Einschluss von 60 Kindern in 14 Zentren in 5 Ländern bis Ende 2022. Zunächst sollen neben der kurzzeitigen Wirkung besonders die pharmakokinetischen und pharmakodynamischen Eigenschaften und die Nebenwirkungen in den verschiedenen Altersgruppen geprüft werden.

Nach einer langen rekrutierungsschwachen Phase konnten wir im Mai und Juni 2022 vier weitere Patient\*innen in die Studie einschließen. Alle vier Säuglinge wiesen eine postoperative Inappropriate Sinus Tachycardia (IST) auf, die mehr als eine Stunde anhaltend bestand. Bei drei von vier Säuglingen konnten wir das Studienziel, eine Herzfrequenzreduktion von 20%, erreichen. Ein leichter Abfall der Herzfrequenz war bereits bei der niedrigsten Dosisstufe innerhalb der ersten 30 Minuten der 3,5-stündigen Infusion erkennbar, wohingegen bei dem Großteil der Kinder das Studienziel erst bei der höchsten Dosierungsstufe erreicht wurde. Bei

einem Kind konnten wir die 20%-Grenze nicht ganz erreichen; trotzdem war ein deutlicher klinischer Vorteil für den Säugling erkennbar. Alle Studienpatient\*innen erhielten die Studienmedikation bis zu 24 Stunden nach Infusionsbeginn weiter, da es keine andere zugelassene oder bessere Therapieoption zu diesem Zeitpunkt für unsere Patient\*innen gibt. Relevante Nebenwirkungen traten nicht auf. Auch konnten wir erkennen, dass wenige Minuten nach Beendigung der Landiololzufuhr die Herzfrequenz wieder leicht anstieg. Deswegen mussten wir bei drei der vier Säuglingen eine andere antiarrhythmische Therapie beginnen/fortsetzen.

Durch die letzten vier eingeschlossenen Patient\*innen konnten wir weitere Erfahrungen mit der Prüfmedikation sammeln. Die schnelle und kurze Wirksamkeit der Medikation ist sehr vielversprechend, da sie vor allem in Notfallsituation sehr gut steuerbar ist. Somit hoffen wir auf eine schnelle Rekrutierung der erforderlichen Patientenzahlen und Zulassung des Medikaments, denn Landiolol wäre der erste zugelassene i.v. Betablocker für Kinder.

Ansprechpartner am ZKJ sind Frau Prof. Dr. B. Stiller und Herr Dr. R. Höhn.

### **GORE® CARDIOFORM ASD Occluder: Multizentrische sonstige klinische Prüfung nach §47 (3) MPDG zur Nachbeobachtung der Wirksamkeit und Sicherheit des GORE® CARDIOFORM ASD Occluders zum Transkatheterverschluss bei Patienten mit Vorhofseptumdefekt (ASD II)**

Es gibt verschiedene interventionelle Verschlussysteme zur kathetergestützten Implantation bei Löchern im Vorhofseptum. In der GORE® CARDIOFORM ASD Occluder Registerstudie führen wir eine prospektive Nachbeobachtung der Patient\*innen durch, die bei uns mit diesem neuen System einen Verschluss ihres hämodynamisch relevanten Vorhofseptumdefekts (ASDII) durch den GORE® Cardioform ASD Occluder erhalten haben. Der GORE® CARDIOFORM ASD Occluder erwies sich seit seiner Zulassung vor circa 3 Jahren insbesondere bei Erwachsenen als sehr vielversprechend und kann auch große Löcher in der Herzscheidewand mit Hilfe seiner selbstzentrierenden Formation verschließen, was mit bisherigen Produkten nicht möglich war.

<https://www.youtube.com/watch?v=God053ZoyWw>

Das neue Verschlussystem kann auch bei Kindern mit geringem oder sogar ganz fehlendem aortalen Randsaum verwendet werden, was zuvor als Ausschlusskriterium für einen katheterinterventionellen Verschluss galt und früher eine Operation am offenen Herzen nötig machte.

Die für die multizentrische Registerstudie erhobenen Daten ergeben sich aus der Routinebehandlung der Patienten; es werden also keine weiteren studienspezifischen Interventionen und Untersuchungen durchgeführt. Zum Verschluss des Vorhofseptums werden die Kinder 2-3 Tage stationär aufgenommen und kommen dann nach 6 bzw. 12 Monaten zu Routinenachuntersuchungen in unsere kinder-kardiologische Ambulanz. Hier werden die spezifischen Behandlungsdaten in eine Studiendatenbank in pseudonymisierter Form übertragen.

Diese Studie ist eine IIT (Investigator Initiated Trial) des Deutschen Herzzentrums München und wird von der Firma W. L. Gore & Associates finanziell unterstützt. Insgesamt sollen 120 Patienten an 4-6 deutschen Kinderherzzentren in die Studie eingeschlossen werden.

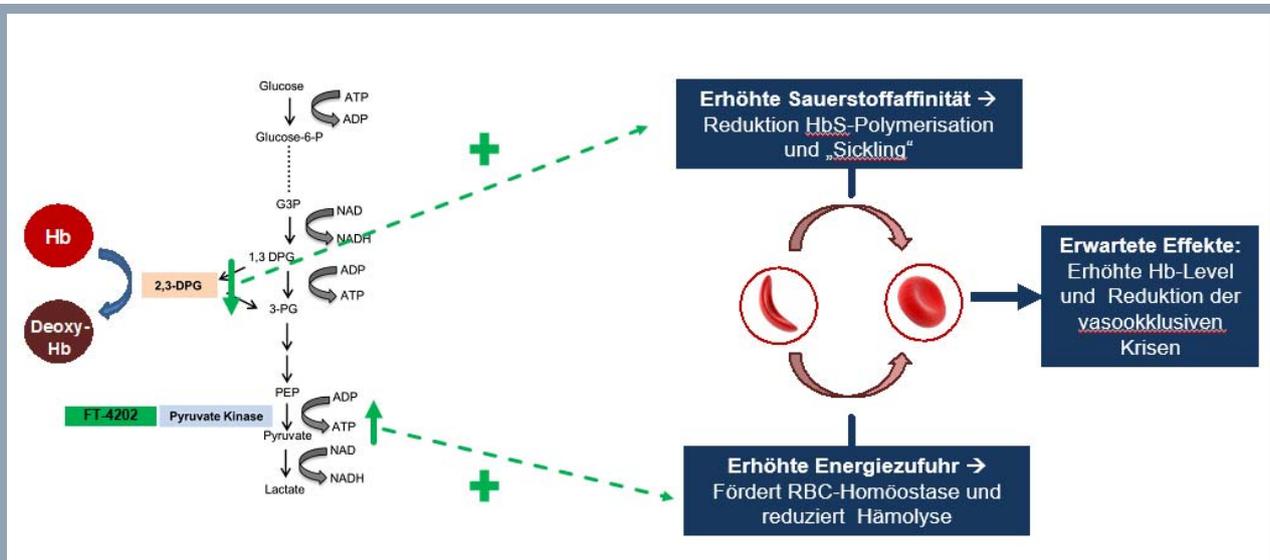
Ansprechpartner am ZKJ sind Frau Prof. Dr. B. Stiller und Herr PD Dr. T. Fleck.

### **Phase 2 Studie zur Prüfung der Sicherheit und Wirksamkeit des Pyruvatkinase-Aktivator FT4202 (Etavopivat) bei Kindern mit Sichelzellerkrankheit**

Die Sichelzellkrankheit (SCD) ist eine autosomal-rezessiv vererbte Multisystemerkrankung, welche zur Gruppe der Hämoglobinopathien gehört. In den meisten Fällen liegt der SCD eine homozygote Punktmutation des  $\beta$ -Globin-Gens zugrunde. Diese Mutation führt zur Expression des pathologischen Hämoglobin S (HbS). Das HbS hat eine deutlich verminderte Sauerstoffaffinität und polymerisiert im desoxygenierten Zustand. Durch die Polymerisation kommt es zur namensgebenden Verformung der Erythrozyten, welche mit einer reduzierten Flexibilität der Zellen und veränderten Oberflächeneigenschaften der Zellmembran einhergeht. Dies führt zu einer chronischen hämolytischen Anämie und durch die Adhäsion der Zellen am Endothel zu Vasookklusionen, welche sowohl akute als auch chronische Komplikationen bzw. Organschäden verursachen. Akute vasookklusive Krisen gehen in der Regel mit stärksten Schmerzen einher und treten im Kindesalter vor allem im Bereich der Extremitäten auf. Zu den schweren akuten Komplikationen gehören unter anderem das akute Thoraxsyndrom sowie der ischämische Hirninfarkt. Als häufigste Folge rezidivierender Durchblutungsstörungen kommt es bei nahezu allen Patienten zu einer funktionellen Asplenie, welche mit einem deutlich erhöhten Risiko für lebensbedrohliche Infektionen einhergeht.

Zur Vermeidung von Komplikationen ist die frühe Diagnose der SCD und der frühzeitige Therapiebeginn entscheidend. Die SCD ist von daher seit 2021 in das deutsche Neugeborenscreening aufgenommen. Als einziges krankheitsmodulierendes Medikament ist im Kindesalter zum aktuellen Zeitpunkt Hydroxycarbamid zugelassen. Hydroxycarbamid wirkt unter anderem über eine Erhöhung des HbF und veränderte Membraneigenschaften der Erythrozyten. Die signifikante Reduktion von Schmerzkrisen und schweren Komplikationen wie dem akuten Thoraxsyndrom unter Hydroxycarbamidtherapie sind gut belegt. Es wird somit als Erstlinientherapie für Patienten mit SCD eingesetzt.

Darüber hinaus bestehen für Kinder, vor allem mit schweren Verläufen, keine alternativen medikamentösen Therapieoptionen. Eine neue vielversprechende Medikamentengruppe, stellen die sog. Pyruvatkinase-Aktivatoren dar. Die Aktivierung der Pyruvatkinase führt zu einer erhöhten intrazellulären Energie und verbessert damit die Homöostase der Erythrozyten bzw. reduziert deren Hämolyse. Durch die Reduktion von Abfallprodukten der Glykolyse wird zudem die Sauerstoffaffinität gesteigert, was zur verminderten HbS-Polymerisation führt. In einer klinischen Phase 1 Studie mit erwachsenen SCD Patienten konnte gezeigt werden, dass es durch den Einsatz des PK-Aktivators FT-4202 (Etavopivat) zu einer signifikanten Erhöhung des Hämoglobinspiegels und zur Reduktion der Hämolyse kam (Brown et al., ASH 2020; Forsyth et al., Clin Pharmacol Drug Dev. 2022). Eine neue Phase 2 Studie soll nun die Sicherheit und die klinische Effektivität dieses PK-Aktivators bei Patienten ab 18 Jahren untersuchen. Wir werden als Prüfzentrum an dieser Studie teilnehmen und freuen uns Patienten mit schweren Verläufen unter Hydroxycarbamidtherapie eine neue, vielversprechende Therapieoption anbieten zu können.



## Hematopoietic stem cell transplantation for adolescents and adults with inborn errors of immunity, an EBMT IEWP study.

Vor über 50 Jahren, im Jahr 1968, wurden in den USA und den Niederlanden die ersten erfolgreichen Knochenmarktransplantationen, bzw. hämatopoetische Stammzelltransplantationen (HSZT), von Patienten mit schwerem kombiniertem Immundefekt (SCID) durchgeführt. Dies war ein wichtiger Meilenstein und eröffnete eine Heilungschance für Erkrankungen, die vor dieser Zeit immer tödlich verlaufen waren. Inzwischen sind weltweit mehrere Tausend Patienten mit schweren Immundefekten erfolgreich transplantiert worden. Die Perspektive einer möglichen dauerhaften Heilung hat dazu geführt, dass auch bei anderen Immundefekten im Kindesalters und zunehmend auch im Jugend-/Erwachsenenalter HSZTs regelhaft durchgeführt werden. Bei weniger schweren Immundefekten, die sich erst später im Leben manifestieren, weil das Immunsystem weniger stark beeinträchtigt ist (z.B. CTLA-4 Defizienz), ist das Abwägen von Risiko und Nutzen gegenüber anderen Therapieoptionen aber nicht abschließend geklärt. Dies liegt zum einen daran, dass bei manchen dieser Immundefekte die Erkrankung nicht nur auf das Immunsystem beschränkt ist, sondern auch Störungen z. B. von Darm-, Lungen- oder Bindegewebe zur Infektionsanfälligkeit beitragen (z.B. beim Hyper IgE Syndrom). Ferner kann eine HSZT bereits vorher bestehende Organschäden, z.B. bei Patienten mit verzögerter Diagnose im Jugend-/Erwachsenenalter, nicht mehr korrigieren, sondern bestenfalls ein Fortschreiten dieser Probleme aufhalten. Aufgrund des Fehlens systematisch erfasster Outcome-Daten, existierten bislang außerdem keine klaren HSZT-Behandlungsempfehlungen für Jugendliche und Erwachsenen mit angeborenen Immundefekten.

Dieses Problem wurde nun erstmals in einer großen europäischen multizentrischen Studie adressiert. In der Arbeit von Albert et al. konnten 329 jugendliche und erwachsene Immundefekt-Patienten analysiert werden (Altersbereich 15-63 Jahre bei HSZT). Auch Patienten aus dem Universitätsklinikum Freiburg (Zentrum für Kinderheilkunde und Medizinische Klinik) wurden eingeschlossen. Die Arbeit analysierte Patienten die zwischen 2000 und 2019 transplantiert wurden. Primäre Endpunkte waren das Gesamtüberleben (OS) und das ereignisfreie Überleben (ES). Wir untersuchten auch den Einfluss verschiedener molekularer Ursachen der zugrundeliegenden Immundefekte und spezifischer Risikofaktoren vor HSZT. Bei einer medianen Nachbeobachtungszeit von 44 Monaten lag das geschätzte OS 1 und 5 Jahre nach der HSCT für alle Patienten bei 78 % bzw. 71 % und das EFS bei 65 % bzw. 62

% - deutlich höher als vormalige kleine Fallserien dies berichteten. Das Vorliegen eines primäre Antikörpermangels, Bronchiektasen, vorheriger Splenektomie sowie eine vorbestehende Lebererkrankung zeigten sich als besondere Risikofaktoren. Auf Grundlage dieser Daten wird es zukünftig möglich sein, das HSZT Risiko bei älteren Patienten mit Immundefekten besser abzuschätzen und neue Behandlungsempfehlungen für betroffene Patienten zu entwickeln.

Ansprechpartner am ZKJ sind PD Dr. Carsten Speckmann und PD Dr. Brigitte Strahm.

---

## **Klinische Studien: „Wer macht was / Wie geht das ?“**

Im **9. Teil** dieser Reihe beleuchten wir die Studienteilnahme aus Sicht der **Studienpatient\*innen**.

Die Teilnahme an einer Klinischen Studie ermöglicht Patient\*innen den Zugang zu neuen, innovativen Medikamenten und Therapieoptionen, stellt sie aber auch vor Herausforderungen, die sich in der Routineversorgung nicht ergeben. Mit der Teilnahme an einer klinischen Studie verbinden sich oft große Hoffnungen im Hinblick auf eine Verbesserung der Erkrankungssituation.

Vor Studieneinschluss erfolgt der mündliche und schriftliche Aufklärungsprozess über die Studieninhalte und –abläufe. Die Studienteilnehmer werden umfassend über mögliche Risiken und den Ablauf der Studienteilnahme informiert. Dazu gehören umfangreiche Informationsdokumente, die ausgehändigt und wahrgenommen werden müssen, bevor die Einwilligung durch die Patient\*innen/Sorgeberechtigten erteilt werden kann.

Nach Rekrutierung in die Studie werden je nach Studienfrage im sogenannten Screening umfangreiche laborchemische, bildgebende und funktionelle Untersuchungen durchgeführt. Dabei wird ein Ausgangsstatus erhoben und festgelegt, ob ein\*e Patient\*in ein streng definiertes Set an Einschlusskriterien erfüllt. Falls die Einschlusskriterien nicht erfüllt werden, beispielsweise wenn Organfunktionsparameter einen definierten Grenzwert über- oder unterschreiten, ist die Studienteilnahme nicht möglich. Für die betroffenen Patient\*innen kann das eine schwere Enttäuschung bedeuten.

Wenn das Studienscreening erfolgreich abgeschlossen ist, erfolgt die Studiendurchführung in der Regel weiterhin am Studienzentrum, wobei es sich um ein nahegelegenes Krankenhaus handeln kann, aber nicht muss. Gegebenenfalls nehmen Familien längere Fahrten und sogar Übernachtungen in Kauf, um die Teilnahme an einer Studie zu realisieren. Bei Studien im ambulanten Setting bedeuten wiederkehrende Klinikvisiten einen erhöhten Planungsaufwand und stellen gerade für Familien mit kleinen Kindern anstrengende logistische Aufgaben dar.

Die sichere und erfolgreiche Durchführung von Studien hängt von einer präzisen Dokumentation ab. Für Patient\*innen bedeutet das, die Einnahme der Medikation genau schriftlich festzuhalten und auftretende Nebenwirkungen oder sonstige Ereignisse der Klinik schnellstmöglich zu melden, um Sicherheitsrisiken der neuartigen Therapie frühzeitig erkennen zu können. Falls bei der Behandlung mit neuen Medikamenten pharmakokinetische Untersuchungen im Rahmen der Studie vorgesehen sind, müssen an definierten Tagen wiederholte Blutentnahmen am Studienzentrum eingeplant werden.

Eine Studienteilnahme kann emotional fordernd sein. Wenn das Studienkonzept eine Randomisierung zwischen Placebo und Studienmedikament vorsieht, kann es je nach Studienarm zu Enttäuschungen über den Therapieverlauf kommen, der dann einer besonderen ärztlichen und pflegerischen Motivation bedarf. Nach Studienende stellt sich bei gutem Ansprechen auf das Studienmedikament oft die Frage, ob die Therapie off-label weitergeführt und die Kosten der ggfs. noch nicht zugelassenen Medikamente erstattet werden können. Von Patient\*innen und deren Familien wird also ein hohes Maß an Mitarbeit und Verständnis im Studienverlauf erwartet.

---

## Kurz berichtet

### Rekrutierungs-Highlights aus dem Bereich der Gefäßfehlbildungen:

**SIPA-SOS:** Sirolimus in Patients with Segmental Overgrowth Syndromes, Phase II, EudraCT: 2015-005416-15; [www.drks.de](http://www.drks.de): DRKS00010085, Studienstart Oktober 2021, aktueller Rekrutierungsstand: 55% (11 von 18)

**EPIK-P2:** A Phase II double-blind study with an upfront, 16-week randomized, placebo-controlled period, to assess the efficacy, safety and pharmacokinetics of alpelisib (BYL719) in pediatric and adult patients with PIK3CA-related overgrowth spectrum (PROS), EudraCT: 2020-000561-16, <https://www.clinicaltrials.gov>: NCT04589650, Rekrutierungsstart Juli 2021, ZKJ aktuell mit führender Rekrutierung in Deutschland: 8 Screenings, 3 on Study drug, 1 aktiv im Screening

LKP beider Studien und Ansprechpartner am ZKJ: Dr. Friedrich Kapp

---



Machen Sie mit bei unserer

Leserbefragung!

Ihr Feedback zum Newsletter ist

uns wichtig!

<https://www.surveymonkey.de/r/V67GD7>

2



Mit diesem Logo kennzeichnen wir Beiträge, die wir als besonders in für Lehrkrankenhäuser und niedergelassene Ärzte erachten.

---

## Platzierung des Newsletters

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studienbüro/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/forschung-und-klinische-studien/klinische-studien-und-register/aktuelles.html>

## Übersicht der laufenden Klinischen Studien am ZKJ

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studienbüro/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/forschung-und-klinische-studien/klinische-studien-und-register/uebersicht-klinische-studien.html>

---

***Das Team des Studienbüros steht für Rückfragen gerne zur Verfügung !***



[zkj.studien@uniklinik-freiburg.de](mailto:zkj.studien@uniklinik-freiburg.de)

Redaktion: Susanne Grüninger, PD Dr. Simone Hettmer

Ausführliche Beiträge: N. Enriquez, Dr. A. Müller, S. Grüninger, PD Dr. S. Hettmer, PD Dr. Carsten Speckmann

---