

Informationen zur Weitergabe an Patienten

### **Multizentrische klinische Studie bei Stargardt Patienten zur Testung der Sicherheit und Wirksamkeit von Remofuscin.**

Remofuscin ist ein Medikament, das aktuell für die Behandlung von Stargardt Patienten entwickelt wird. Eine klinische Studie wurde in ophthalmologischen Kliniken in den Niederlanden, Deutschland, England und Italien (für Kontaktinformationen siehe unten) vorbereitet und derzeit durchgeführt.

Die aktive Substanz des Remofuscin Medikaments, Soraprazan, wurde zuvor für Refluxösophagitis entwickelt. In Phase 1 und 2 Studien an mehr als 700 Probanden und Patienten hat sich das Medikament als sicher erwiesen, da es nur zu nicht-schwerwiegenden Nebenwirkungen bei der Behandlung mit Soraprazan gekommen ist.

Die derzeitige Studie ist die erste Studie zur Behandlung von Stargardt Patienten mit Soraprazan. In einigen nicht-klinischen Studien hat sich gezeigt, dass Soraprazan das Lipofuscin von den Retinazellen entfernt. Hohe Lipofuscinkonzentrationen in diesen Zellen gelten als eine der Hauptursachen für den Retinaschaden bei der Stargardt Krankheit. In dieser Studie werden sowohl die Sicherheit als auch der potenzielle Nutzen der Behandlung überprüft. Nicht jeder Patient, der an der Studie teilnimmt, wird das Prüfmedikament Soraprazan erhalten: einer von drei Patienten wird Placebo Tabletten bekommen, die wie die Soraprazan Tabletten aussehen aber keine aktiven Wirkstoffe enthalten. Weder Sie noch Ihr Arzt werden wissen welche Tabletten Sie kommen, aber dies kann im Falle von schwerwiegenden Nebenwirkungen jederzeit in Erfahrung gebracht werden.

Studienteilnehmer müssen täglich 2 Tabletten Soraprazan oder Placebo über 52 Wochen einnehmen. Teilnehmer werden für 14 Monate in die Studie eingeschlossen und müssen in dieser Zeit zu mindestens 11 Visiten im Studienkrankenhaus erscheinen. Übernachtungsvisiten sind nicht geplant.

Untersuchungen und Tests während der Studie beinhalten allgemeine Augenuntersuchungen, bestkorrigierte Sehschärfe, geringe Leuchtdichten Sehschärfe, Lesegeschwindigkeit, Lebensqualitätsfragebögen, Mikroperimetrie, quantitative Autofluoreszenz, SD-OCT und Farb-Fundus-Fotografie. Einige Studienkrankenhäuser könnten noch zusätzlich adaptive Optiken und pupillografische Kampimetrie anbieten.

An der Studie können Erwachsene mit genetisch bestätigter Stargardt Erkrankung (mit wenigstens zwei ABCA4 Mutationen) sowie bestätigtem und dokumentiertem Beginn der Krankheit vor dem 45ten Lebensjahr teilnehmen. Die Studie ist sowohl für Frauen als auch für Männer zugänglich. Weitere Einschlusskriterien sind eine bestkorrigierte Sehschärfe von 0.2 bis 0.8 (dezimal) und ein erhöhter Wert für Autofluoreszenz, was ein Biomarker für Lipofuscin ist.

Patienten werden nicht eingeschlossen, wenn sie Medikamente zur Magensäurereduktion nicht tolerieren. Einige Beschwerden, ob bestehend oder zurückliegend, können zu einem Studienausschluss führen. Hierzu gehören abnormale Blutwerte oder einige Augenerkrankungen wie entzündliche Augenerkrankung oder hoher Augeninnendruck. Stillende oder Schwangere sind ebenfalls von der Studienteilnahme ausgeschlossen. Die Augen müssen für die Tests in der Studie geeignet sein, d.h. die Pupillen müssen sich gut relaxieren lassen und es muss möglich sein, klare Bilder vom Augenhintergrund zu machen. Andere Augenerkrankungen können die Teilnahme an der Studie verhindern. Die Teilnahme an anderen klinischen Studien wird nicht akzeptiert.

Stargardt-Patienten, die an einer Teilnahme an der Studie interessiert sind, werden für weitere Informationen an folgenden Ansprechpartner / Studienklinik verwiesen:

**Zentrum für Ophthalmologie**

**Elfriede-Aulhorn-Str. 7**

**72076 Tübingen**

**Tel: 07071 29-88088**

**E-Mail: [remofuscin@stz-eyetrial.de](mailto:remofuscin@stz-eyetrial.de)**

Dieses Informationsschreiben hat Zustimmung der Ethik-Kommission am 19.12.2018 erhalten.