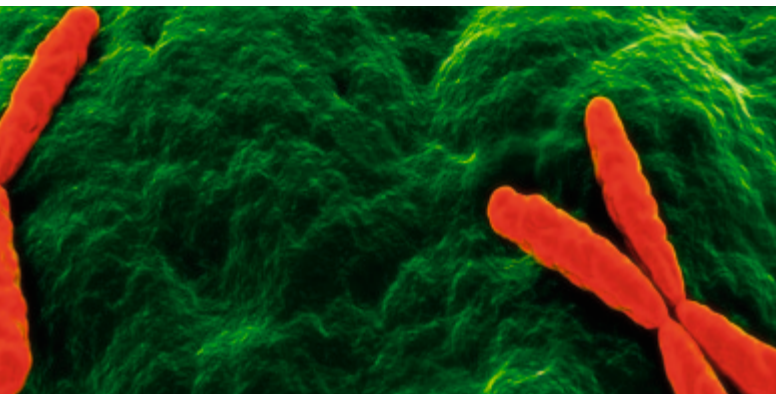


Weitere Informationen zu dem Studienablauf können Sie bei den Studienzentren erfahren.

Dort können Sie sich auch über den Zeitaufwand und die im Rahmen der Studie durchgeführten Untersuchungen im Detail erkundigen.

CAFQ056B2214, EUDRACT Nummer: 2010-022638-96
Version: 22.Jul2011



Ihre Ansprechpartner

Dr. Gottfried Barth

Universitätsklinikum Tübingen

Tel.: 0176 390 460 63

isabel.brandhorst@med.uni-tuebingen.de

Prof. Dr. med. Dipl.-Psych. Michael Huss

Universitätsklinik Mainz

Tel.: 06131 17-6007

patricia.meinhardt@ukmainz.de

Dr. Adam Alfred

München

Tel.: 0160 996 819 30

maike.browarzyk@kinderpsychiatrie-muenchen.de

**Medizinischer Infoservice der
Novartis Pharma GmbH**

Roonstr. 25, 90429 Nürnberg

Tel.: 01802 23 23 00

(0,06 Euro pro Anruf aus dem deutschen Festnetz, max. 0,42

Euro/min bei Anruf aus dem deutschen Mobilfunknetz)

Servicezeiten: Montag - Freitag von 8-18 Uhr



Information für Familien von jugendlichen Patienten mit FraX

Klinische Studie der Firma Novartis



Fragiles-X Syndrom

Das Fragile-X Syndrom ist die häufigste Form erblicher geistiger Behinderung, ausgelöst durch die Veränderung eines Gens auf dem X-Chromosom.

Kinder mit Fragilem-X Syndrom erkennt man oft nicht sofort. Erst im Laufe der ersten Lebensjahre zeigen sich Entwicklungsverzögerungen gepaart mit Verhaltensauffälligkeiten, wie Bewegungsunruhe, Stereotypien, autistische Züge und Überreaktionen in Stress-Situationen. Dabei sind Mädchen/Frauen oft anders oder weniger stark betroffen als Jungen/Männer. In Deutschland leben nach aktuellen Schätzungen ca. 20.000 Menschen mit dieser genetischen Veränderung.

Eine Diagnose ist heute durch einen einfachen molekularbiologischen Test möglich, zu dem lediglich eine Blutentnahme nötig ist. Neben der Förderung von Bewegung, Sprache und Sozialverhalten, stehen betroffenen Familien nur wenige therapeutische Möglichkeiten zur Verfügung. In der klinischen Forschung wurden jedoch nun erste Erfolge bei der Entwicklung eines Medikaments verzeichnet.

Klinische Studie

Bevor ein Medikament in der Apotheke verfügbar ist, müssen die Sicherheit und Wirksamkeit des Medikaments in klinischen Studien belegt werden. Jugendliche Personen mit Fragilem X können aktuell in Deutschland bei einer solchen Wirksamkeitsstudie mit einer neuen Substanz (einem sog. Glutamatantagonisten) von der Firma Novartis teilnehmen. Studienzentren befinden sich aktuell in Tübingen, München und in Mainz.

In dieser Studie soll herausgefunden werden, ob und wie das Medikament wirkt. Die Teilnehmer werden von Arzt und Studienteam engmaschig begleitet.

Vorausgesetzt wird unter anderem, dass Teilnehmer zwischen 12-17 Jahre alt sind, eine genetisch bestätigte Diagnose des Fragilen X vorliegt und nicht mehr als 2 Psychopharmaka eingenommen werden.

Bei Interesse können Sie sich bei den Studienteams in den Studienzentren informieren, die Kontaktdaten stehen auf der Vorderseite des Flyers.

Studieneckpunkte

In dieser Studie werden die Teilnehmer in 4 verschiedene Gruppen zufällig verteilt. In drei Gruppen erhalten die Teilnehmer verschiedene Dosierungen des Studienmedikaments. Die vierte Gruppe erhält ein Placebo (Medikament ohne Wirkstoff). Dies ist nötig um Teilnehmer mit und ohne Wirkstoffaufnahme miteinander vergleichen zu können. Ob und wenn ja welche Dosierung ein Teilnehmer erhält, wird erst am Ende der Studie bekannt gegeben.

Über einen Zeitraum von ca. 20 Wochen werden die Studienteilnehmer zu 8 Terminen an das Zentrum gebeten. Dies ist wichtig um die Verträglichkeit und Wirksamkeit des Studienmedikaments zu überprüfen. Eine Teilnahme ist freiwillig und kann jederzeit abgebrochen werden. Des Weiteren besteht die Möglichkeit freiwillig an einer Anschlussstudie teilzunehmen, bei der jeder Teilnehmer die optimale Dosis des Studienmedikaments erhält.

Weitere Details zur Studie werden Ihnen am Prüfzentrum erläutert.