idw - Informationsdienst Wissenschaft
Nachrichten, Termine, Experten

Pressemitteilung

Universitätsmedizin Göttingen - Georg-August-Universität
Stefan Weller

12.07.2023
http://idw-online.de/de/news817693

Forschungsprojekte, Wissenschaftspolitik
Biologie, Medizin
überregional

Chronische Nierenerkrankung bei Kindern: neue Medikamenten-Studie

Weltweit erste klinische Studie untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit des nierenschützenden Medikaments Dapagliflozin bei Kindern mit chronischer Nierenerkrankung. Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG) fördert Studie unter Leitung der Universitätsmedizin Göttingen (UMG) mit rund 1,3 Millionen Euro.

(umg) Kinder mit der Erbkrankheit „Alport Syndrom“ leiden unter einer vorzeitigen Vernarbung und Alterung der Nieren. Die Folge: es kommt zu einer Entzündung der Nieren, die Nierenfunktion verschlechtert sich, mit dem Urin werden Blut und hohe Mengen Eiweiß ausgeschieden und oft können auch Schwerhörigkeit und Augenschäden auftreten. Die Betroffenen sind oft bereits mit Anfang dreißig auf regelmäßige Blutwäschen angewiesen und benötigen eine Spenderniere. Die Lebensqualität und Lebenserwartung sind deutlich eingeschränkt. In Deutschland sind aktuell rund 1.000 Kinder betroffen. Aus Mangel an alternativen Therapien behandeln Kinder-Nierenärzt*innen chronisch-nierenkranke Kinder mit Medikamenten wie Dapagliflozin, das bisher aber nur für Erwachsene zugelassen ist.

Mediziner*innen der Universitätsmedizin Göttingen (UMG) unter Federführung von Prof. Dr. Oliver Gross, Oberarzt in der Klinik für Nephrologie und Rheumatologie der UMG, untersuchen erstmals die Wirksamkeit und Sicherheit von Dapagliflozin bei mehr als 100 jungen Patient*innen im frühen Stadium der chronischen Nierenerkrankung. Die Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG) fördert die bundesweite DOUBLE PRO-TECT-Studie mit rund 1,3 Millionen Euro über drei Jahre. Die Studie hat das Ziel, eine effektive und sichere Behandlung zu etablieren, die das Nierenversagen verzögert und die Lebenserwartung von Kindern mit chronischer Nierenerkrankung erhöht. „Ich freue mich ganz besonders, dass unsere Studie nach fünf Jahren Planungsarbeit jetzt durchgeführt werden kann“, sagt Prof. Gross: „Der Einsatz von Erwachsenen-Medikamenten bei Kindern ist nicht unüblich. Die Zulassungsbehörden in den USA und Europa schreiben den Herstellern grundsätzlich die systematische Prüfung an Kindern vor. Bei dieser Substanzgruppe gilt diese Verpflichtung aufgrund einer Sonderregelung jedoch nicht. Dies birgt Risiken, denn Kinder sind medizinisch gesehen keine kleinen Erwachsenen. Wirkung, Nebenwirkungen und Spätfolgen lassen sich nicht von Erwachsenen auf Kinder übertragen“, so Prof. Gross.

An der Studie werden über einen Gesamtzeitraum von drei Jahren insgesamt 102 junge Menschen mit Alport Syndrom im Alter von 10 bis 39 Jahren teilnehmen. Sie werden in zwei Gruppen eingeteilt: die eine Gruppe wird mit dem Medikament Dapagliflozin behandelt, während die andere Gruppe eine wirkstofffreie Therapie, ein Placebo, erhält und als Kontrollgruppe dient. Die nierenschützende Wirkung des Medikaments wird anhand der Eiweißausscheidung der Niere nach 48 Wochen sowie der Erhalt der Nierenfunktion nach 52 Wochen überprüft und die Ergebnisse anschließend verglichen. „Eine Herausforderung der Studie bestand darin, dass die Erkrankung selten ist und viele Teilnehmende noch Kinder sind. Deshalb müssen wir mit einer relativ geringen Anzahl an Teilnehmenden auskommen. Um trotzdem wissenschaftlich belastbare Studienergebnisse zu erhalten, setzen wir hier besonders effiziente Verfahren in der Planung und Auswertung ein“, sagt der leitende Statistiker der Studie Prof. Dr. Tim Friede, Direktor des Instituts für Medizinische Statistik der UMG: „Hierbei profitieren wir von der langjährigen und intensiven Kooperation mit Prof. Gross und seinem Team, indem wir nun unsere Erfahrungen aus verschiedenen anderen Projekten zu chronischen Nierenerkrankungen in die neue Studie einbringen können“, ergänzt Prof. Friede.

„Die Zeit drängt für die klinische Studie: Je erfolgreicher die Dapagliflozin-Behandlung von Erwachsenen mit schwerer Nierenerkrankung ist, desto größer die Gefahr, dass mehr chronisch nierenkranke Kinder ohne ausreichende Kenntnisse der Wirkung, Nebenwirkungen und Risiken mit diesem Medikament behandelt wer-den," sagt Prof. Gross: „Das für die Untersuchungen eingesetzte Dapagliflozin wie auch das Placebo werden vollständig aus den Fördermitteln finanziert. Dies erlaubt uns, die Studie komplett Industrie-unabhängig zu gestalten."

Die Studie wurde gemeinsam mit Dr. Jan Boeckhaus, Assistenzarzt der Klinik für Nephrologie und Rheumatologie der UMG, konzipiert und wird durch das Studienzentrum der UMG koordiniert. Weiterhin sind internationale Experten als Steuerungsgruppe beteiligt, die mit ihrem Fachwissen die Planung der Studie auf höchstem internationalen Niveau ermöglichen: Prof. Dr. Christoph Wanner, ehemaliger Leiter der Nephrologie in der Medizinischen Klinik und Poliklinik I am Universitätsklinikum Würzburg und Präsident der Europäischen Gesellschaft für Nephrologie, Prof. Dr. Hiddo Heerspink, Klinischer Pharmakologe in der Abteilung für klinische Pharmazie und Pharmakologie am University Medical Center Groningen in den Niederlanden und renommierter Experte für Dapagliflozin, Prof. Dr. Lutz Weber, Leiter Kindernephrologie und Geschäftsführender Oberarzt der Kinder- und Jugendmedizin der Uniklinik Köln sowie Präsident der Deutschen Gesellschaft für Pädiatrische Nephrologie, Dr. James Simon, Medizinischer Direktor an der Cleveland Clinic, Cleveland, USA, und Alport-Experte, Andre Weinstock, Patient*innenvertreter der amerikanischen Selbsthilfegruppe (Alport Syndrome Founda-tion), und Christoph Wagner, Patient*innenvertreter der deutschen Selbsthilfegruppe (Alport-Selbsthilfe).

Die DOUBLE PRO-TECT Alport-Studie knüpft an die vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) geförderte EARLY PRO-TECT Alport-Studie an, die 2012 und 2019 ebenfalls unter Leitung von Prof. Gross als weltweit erste Therapiestudie bei Kindern zur Behandlung des Alport-Syndroms durchgeführt wurde.

wissenschaftliche Ansprechpartner:

Universitätsmedizin Göttingen, Georg-August-Universität
Klinik für Nephrologie und Rheumatologie
Prof. Dr. Oliver Gross
Telefon 0551 / 39-60488
Robert-Koch-Str. 40, 37075 Göttingen
gross.oliver@med.uni-goettingen.de

Universitätsmedizin Göttingen, Georg-August-Universität
Klinik für Nephrologie und Rheumatologie
Prof. Dr. Michael Zeisberg, Direktor der Klinik
Telefon 0551 / 39-60470
Robert-Koch-Str. 40, 37075 Göttingen
nephrorheuma@med.uni-goettingen.de

Prof. Dr. Oliver Gross, Oberarzt in der Klinik für Nephrologie und Rheumatologie der Universitätsmedizin Göttingen, UMG.
SSK Photography