

## **EOE-PATIENTEN (Kinder und Jugendliche) GESUCHT!**

### **Studientitel:**

**Doppelblinde, randomisierte, plazebo-kontrollierte Phase-II/III-Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Verträglichkeit einer Behandlung mit Budesonid-Suspension zum Einnehmen im Vergleich zu Plazebo bei Kindern und Jugendlichen mit eosinophiler Ösophagitis**

**(Titel (engl.) Double-blind, randomized, placebo-controlled, Phase II/III trial on the efficacy and tolerability of treatment with budesonide oral suspension vs. placebo in children and adolescents with eosinophilic esophagitis)**

(Studien-Code: BUU-5/EEA; Kurzbezeichnung: „PEDEOS-1“)

### **Wer kann an der Studie teilnehmen?**

An der Studie können Kinder und Jugendliche in einem Alter **zwischen 2 und 17 Jahren** teilnehmen, die an einer eosinophilen Ösophagitis (EoE) leiden. Die Diagnose der eosinophilen Ösophagitis muss zu Studienbeginn anhand von Gewebeproben einer aktuellen Spiegelung der Speiseröhre (und evtl. des Magens und des Dünndarms) durch einen unabhängigen Pathologen bestätigt werden.

### **Warum wird die Studie durchgeführt?**

Mehrere Studien haben gezeigt, dass die Behandlung der EoE mit Glukokortikoiden („Kortison“) die Symptome verbessert und die Entzündung zurückgeht. Häufig führt aber eine Akut- oder Langzeitbehandlung mit Glukokortikoiden zu zahlreichen Nebenwirkungen. Budesonid gehört ebenfalls zu den Glukokortikoiden. Es wird in der Studie als dickflüssige Suspension (wie ein Saft) zum Einnehmen verabreicht und wirkt deshalb direkt in der Speiseröhre. Der Wirkstoff Budesonid wird sehr schnell in der Leber abgebaut, deshalb sind die Nebenwirkungen bei dieser Behandlung im Vergleich zu anderen Glukokortikoiden geringer. Für Kinder und Jugendliche mit EoE ist bisher keine Kortisontherapie und insbesondere keine Darreichungsform von Budesonid zugelassen. Mit dieser Studie soll untersucht werden, ob eine Suspension mit Budesonid bei Kindern und Jugendlichen mit einer EoE eine sichere und effektive Behandlung darstellt.

### **Wie werde ich / mein Kind behandelt?**

Die Studienteilnahme beginnt mit einer bis zu 4-wöchigen Screening-Phase, in welcher die Eignung für die Studienteilnahme überprüft wird. Daran schließt sich eine 12-wöchige Behandlungsphase an, mit dem Ziel die Symptome zu bessern und Entzündungszeichen in der Speiseröhre zurückzubilden. Der Patient nimmt täglich morgens und abends die Medizin ein.

Es gibt drei Behandlungsgruppen mit einer täglichen Dosis von:

1. Budesonid 0,5 mg oder 1,0 mg (2 bis 11 Jahre)
2. Budesonid 1,0 oder 2,0 mg (12 bis 17 Jahre)
3. Plazebo (d.h. ein Scheinmedikament ohne Wirkstoff)

Die Verteilung der drei Gruppen ist 1:1:1, d.h. 2/3 der Patienten erhalten Budesonid und 1/3 der Patienten Plazebo. Weder Arzt noch Patient wissen, ob Budesonid oder Plazebo verabreicht wird. Diese Phase heißt „doppelblinde Behandlungsphase“. Wenn sich der Zustand nicht ausreichend verbessert, wird dem Patienten anschließend eine Behandlungsphase angeboten, in der Budesonid in einer Dosis von 1,0 mg (bis 11 Jahre) bzw. 2,0 mg (bis 17 Jahre) gegeben wird. Diese Phase ist im Gegensatz zur doppelblinden Induktionsphase offen, d.h. in jedem Fall wird das Budesonid-Medikament gegeben.

Spricht der Patient in der doppelblinden, bzw. in der folgenden, offenen Behandlungsphase gut auf das Medikament an, wird dem Patienten eine 24-wöchige Erhaltungstherapie angeboten. In dieser Phase wird Budesonid in einer Dosis von 0,5 mg (bis 11 Jahre) bzw. 1,0 mg (bis 17 Jahre) gegeben und kann bei Bedarf auf 1,0 mg (bis 11 Jahre) bzw. 2,0 mg (bis 17 Jahre) erhöht werden.

Sollten Sie / Ihr Kind oder Ihr Arzt die Studienteilnahme während oder nach einer dieser aufeinander folgenden Phasen beenden, werden Sie / Ihr Kind nach einer 3-wöchigen Ausschleichphase und einer 4-wöchigen Nachbeobachtungszeit zur Abschlussvisite einbestellt.

Die Studiendauer beträgt mindestens 23 Wochen und maximal 59 Wochen.

### **Führt die Behandlung zu den klassischen Nebenwirkungen von Kortikosteroiden?**

Budesonid zeigt aufgrund seiner chemischen Eigenschaften nicht die klassischen Nebenwirkungen von Kortikosteroiden bzw. nicht in der gleichen Intensität. Wie bei jeder Therapie können aber auch bei einer Behandlung mit Budesonid Nebenwirkungen auftreten. Im Rahmen der Studie werden Sie bzw. Ihr Kind daher engmaschig überwacht, so dass eventuell auftretende Nebenwirkungen rasch behandelt werden können.

### **Werden in der Studie Endoskopien (Spiegelung) durchgeführt?**

Ja, 2- bzw. 3-mal. Im Rahmen der Studie ist zum Studieneinschluss, zum Abschluss der doppelblinden Induktionsphase, und ggf. zum Abschluss der offenen Induktionsphase eine Spiegelung (Endoskopie) der Speiseröhre vorgesehen. Wurde die Erkrankung im Jahr vor Beginn der Studie mittels einer Magenspiegelung bestätigt, reicht für die Eingangsuntersuchung der Studie eine Spiegelung der Speiseröhre. Andernfalls muss eine Magenspiegelung durchgeführt werden.

### **Wo erhalte ich Informationen?**

Die Studie wird in mehreren europäischen Ländern, u.a. in Deutschland durchgeführt. Falls Sie/Ihr Kind Interesse haben, an dieser neuen Studie zur Behandlung der EoE teilzunehmen, kontaktieren Sie bitte eines der unten genannten Studienzentren.

**Vielen Dank für Ihr Interesse.**

<p><b>Studienleitung:</b>                  Herr Dr. med. Stephan Buderus                  Pädiatrische Gastroenterologie                  GFO Kliniken Bonn                  Robert-Koch Str. 1                  53115 Bonn</p>	<p><b>Zuständige Ethikkommission:</b>                  Ethik-Kommission der Ärztekammer                  Nordrhein                  Tersteegenstr. 9                  40474 Düsseldorf                  Email: <a href="mailto:ethik@aekno.de">ethik@aekno.de</a>                  Telefon: 0211 / 4302 2279</p>
<p><b>Sponsor:</b>                  Dr. Falk Pharma GmbH                  Leinenweberstraße 5                  79108 Freiburg</p>	

**Studienzentren:**

<b>Zentrum:</b>	<b>Ansprechpartner:</b>
<p>Dr. med. Adrian Lieb                  Universitätsklinikum Frankfurt Goethe-Universität                  Klinik für Kinder- und Jugendmedizin (KKJM)                  Theodor-Stern-Kai 7                  60590 Frankfurt, Germany</p>	<p>Dr. med. Adrian Lieb                  Tel.: +49 (0)69 6301 6861                  Email: <a href="mailto:adrian.lieb@kgu.de">adrian.lieb@kgu.de</a></p>
<p>Dr. med. Carsten Posovszky                  Universitätsklinikum Ulm                  Klinik für Kinder- und Jugendmedizin                  Eythstraße 24                  89075 Ulm, Germany</p>	<p>Dr. med. Carsten Posovszky                  Tel.: +49 (0)731 500 57470                  Email: <a href="mailto:carsten.posovszky@uniklinik-ulm.de">carsten.posovszky@uniklinik-ulm.de</a></p>
<p>Univ.-Prof. Dr. med. Michael Melter                  KUNO Klinik und Poliklinik für Kinder- und                  Jugendmedizin                  Krankenhaus Barmherzige Brüder Regensburg –                  Klinik St. Hedwig                  Steinmetzstraße 1-3                  93049 Regensburg, Germany</p>	<p>Univ.-Prof. Dr. med. Michael Melter                  Tel.: +49 (0)941 369 5801                  Email: <a href="mailto:michael.melter@barmherzige-regensburg.de">michael.melter@barmherzige-regensburg.de</a></p>
<p>PD Dr. med. Anjona Schmidt-Choudhury                  Klinik für Kinder- und Jugendmedizin der Ruhr-                  Universität Bochum                  Alexandrinenstraße 5                  44791 Bochum, Germany</p>	<p>PD Dr. med. Anjona Schmidt-                  Choudhury                  Tel.: +49 (0)234 5092671                  Email: <a href="mailto:a.schmidt-choudhury@klinikum-bochum.de">a.schmidt-choudhury@klinikum-bochum.de</a></p>