



## **Übersicht Studien im Mukoviszidose-Zentrum Köln Stand Februar 2019**

### **1 *Proteostasis PTI-808-01 (Phase Ib/II) - Studie***

Randomisierte, multizentrische, Plazebokontrollierte, cross-over Studie zur Beurteilung der Sicherheit, Effektivität und Pharmakokinetik von PTI-428 bei Mukoviszidose-Patienten zwischen 18-55 Jahren.

Start: November 2018

Leiterin der klinischen Prüfung: Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel

### **2 *Vertex VX17-661-116***

Phase III Roll-over Langzeitstudie zur Sicherheit und Wirksamkeit von Lumacaftor® in Kombination mit Ivacaftor® bei Mukoviszidose-Patienten im Alter von 6-11 Jahren, die homozygot für die delF508 Mutation sind.

Start: November 2018

Leiterin der klinischen Prüfung: Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel

### **3 *Vertex VX17-659-105***

Phase III Roll-over Langzeitstudie zur Sicherheit und Wirksamkeit der VX-659- (Dreifach-) Kombinationstherapie (VX-659, Tezacaftor und Ivacaftor) bei Mukoviszidose-Patienten ab einem Alter von 12 Jahren, die homozygot oder heterozygot für die delF508 Mutation sind.

Start: November 2018

Leiterin der klinischen Prüfung: Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel

### **4 *SMR-3372***

Doppelblinde, randomisierte, plazebokontrollierte multizentrische Studie zur Effektivität und Sicherheit der Inhalationstherapie mit Oligosacchariden (OligoG) für 28 Tage bei Patienten ab 12 Jahren mit Mukoviszidose.

Start: Juni 2019

Leiterin der klinischen Prüfung für Deutschland: Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel



## 5 **HIT-CF (HORIZON2020)europäische Organoid-Studie**

Internationale multizentrische, interventionelle Studie zur Identifizierung von Patienten mit seltenen CFTR-Mutationen, die klinisch auf eines der Medikamente in dem Entwicklungsprozess ansprechen. Im ersten Teil werden neuartige CFTR-Modulatoren an Organoiden von 500 europäischen CF-Patienten ab 18 Jahren mit seltenen CFTR-Mutationen getestet, um Patienten zu identifizieren, die von diesen Behandlungen klinisch profitieren könnten.

Der zweite Teil besteht darin, die klinische Wirksamkeit dieser neuen Medikamente in einer klinischen Studie zu bewerten. Die Patienten, die in den Organoiden am besten auf die Medikamente angesprochen haben, werden für die klinische Studie ausgewählt.

