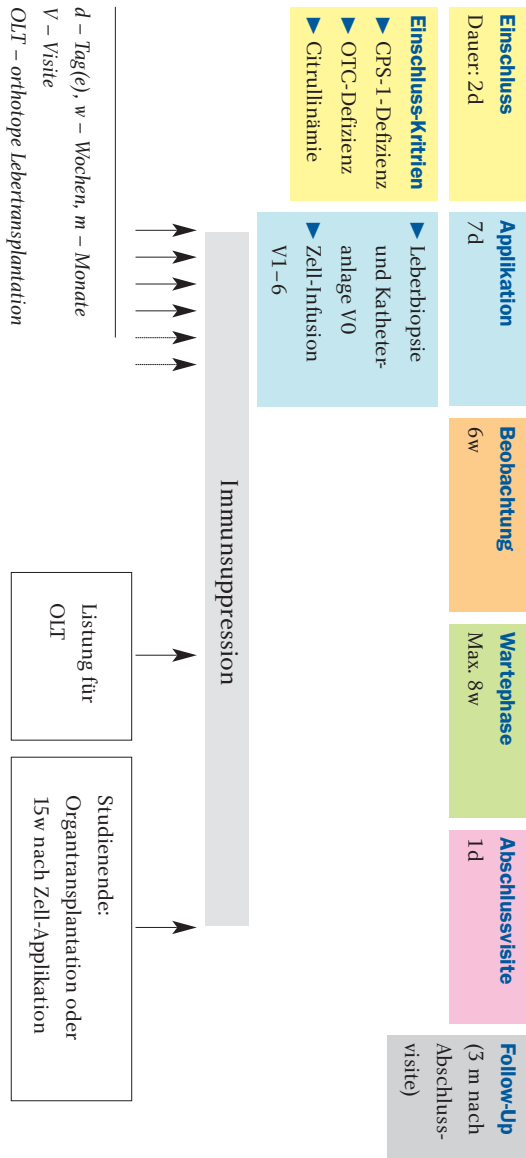


Studienablauf



Kontakte/Prüfzentren

Universitätsklinikum Heidelberg
 Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin
 Prof. Dr. Georg F. Hoffmann (LKP)
 Dr. Martin Lindner

Tel. 06 22 1-56 23 11
 Tel. 01 52-54 58 22 91
 (auch außerhalb der Dienstzeiten)

Medizinische Hochschule Hannover
 Pädiatrische Stoffwechselmedizin Pädiatrie II
 Prof. Dr. Anibh Das
 Tel. 05 11-53 23 220 (außerhalb der Dienstzeiten bitte mit dem Neuro-Metabolischen Dienst verbinden lassen)

Weitere geplante Studienzentren:
 Berlin / München

Koordinierungszentrum für klinische Studien (KKS)
 Universitätsklinikum Heidelberg
 Hans Leibfritz
 Tel. 06 22 1-56 34 514

Sponsor
 Cytonet GmbH & Co. KG
 Albert-Ludwig-Grimm-Str. 20
 69469 Weinheim

Dr. Heinz Kriegbaum Dr. Maike Wolters
 Tel. 01 51-17 44 16 96 Tel. 01 60-58 42 680
 www.cytonet.de

Neue Therapieoption für Neugeborene mit Harnstoffzyklusdefekten

Leberzelltherapie zur Stoffwechselstabilisierung

Patienten mit folgenden Harnstoffzyklusdefekten für klinische Studie gesucht:

CPS-1-Defizienz
 OTC-Defizienz
 Citrullinämie

Sollten Sie betroffene Neugeborene behandeln, setzen Sie sich bitte mit der Kinderklinik Heidelberg unter 01 52-54 58 22 91 in Verbindung



Die SELICA-II-Studie

Safety & Efficacy of LiverCell Application

Hintergrund und Rationale

Erste klinische Ergebnisse mit der Leberzelltherapie zeigten bei Neugeborenen und Kleinkindern mit Harnstoffzyklusdefekten eindrucksvolle Therapieerfolge. Da die orthotope Lebertransplantation (OLT) mit einem Langzeitüberleben von 90% derzeit die aussichtsreichste Therapieoption bei Harnstoffzyklusdefekten darstellt, soll durch den Einsatz von Leberzellen in der SELICA-II-Studie erreicht werden, die Kinder ohne metabolische Krisen und damit ohne neurologische Schäden einer Organtransplantation zuzuführen.

Ziel der Studie

Ziel der Studie ist die Überbrückung der Zeit bis zur OLT, die im Alter von 12–18 Wochen erfolgt, ohne hyperammonämische Krise. Dabei soll die Sicherheit und Wirksamkeit der wiederholten Gabe von Leberzellsuspensionen bei Neugeborenen mit Harnstoffzyklusdefekten untersucht werden.

Primäre Endpunkte

Nachweis der Sicherheit der Leberzellapplikation und der Sicherheit der Applikation des Pfortaderkatheters durch die Nabelvene.

Anstieg der jeweiligen Enzymaktivität in der explantierten Leber im Vergleich zur Leberbiopsie, die vor der ersten Behandlung mit Leberzellen entnommen wurde.



UniversitätsKlinikum Heidelberg

Einschlusskriterien

Neugeborene, bei denen einer der folgenden drei Harnstoffzyklus-Defekte auf biochemischer Grundlage diagnostiziert wurde:

- ▶ Carbamylphosphat-Synthetase-I-Defizienz (CPSD)
- ▶ Ornithin-Transcarbamylase-Defizienz (OTCD)
- ▶ Argininosuccinat-Synthetase-Defizienz (Citrullinämie)

Zugänglichkeit der Portalvenen bzw. Nabelvene

Schriftliche Einverständniserklärung der Erziehungsberechtigten zur Teilnahme an der Studie

Ausschlusskriterien

Strukturelle Erkrankungen der Leber (Zirrhose, Bluthochdruck in der Portalvene) oder Venenverschlusserkrankungen

- ▶ Thrombose der Portalvene
- ▶ Träger des Humanen Immunodefizienzvirus (HIV)
- ▶ Akute Infektion
- ▶ Andere Kontraindikationen für Immunsuppression
- ▶ Teilnahme an einer anderen Studie
- ▶ Notwendige Lebendimpfungen während der Studienteilnahme geplant
- ▶ Allergische Disposition gegen in der Studie eingesetztes Kontrastmittel oder gegen Antibiotika, die im Herstellungsprozess verwendet werden
- ▶ Schwere Gerinnungsstörungen
- ▶ Krebserkrankungen, schwere systemische oder chronische Erkrankungen außer der Studienindikation (Harnstoffzyklus-Defizienz)